

Nirogacestat (Desmoidtumor)

Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

A horizontal bar composed of 18 squares of varying shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is written in white capital letters on a dark blue background that spans the first 15 squares of the bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G25-29

Version: 1.0

Stand: 13.01.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2172

DOI: 10.60584/G25-29

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Nirogacestat (Desmoidtumor) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

14.10.2025

Interne Projektnummer

G25-29

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-29>

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: info@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Nirogacestat (Desmoidtumor); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-29>.

Schlagwörter

Nirogacestat, Desmoidtumoren, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Nirogacestat, Desmoid Tumors, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

- Jens Jakob, Sarkomchirurgie, Chirurgische Klinik, Universitätsmedizin Mannheim und Medizinische Fakultät Mannheim der Universität Heidelberg

Das IQWiG dankt dem medizinisch-fachlichen Berater für seinen Beitrag zur Dossierbewertung. Der Berater war jedoch nicht in die Erstellung der Dossierbewertung eingebunden. Für die Inhalte der Dossierbewertung ist allein das IQWiG verantwortlich.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Kathrin Wohlföhner
- Christiane Balg
- Christopher Kunigkeit
- Sarah Mostardt
- Betül Özdemir-Basat

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
1 Hintergrund.....	1
1.1 Anwendungsgebiet.....	1
1.2 Verlauf des Projekts.....	1
1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	2
2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	3
3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	4
3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....	4
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	4
3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	7
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	8
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	8
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	8
3.2.1 Behandlungsdauer.....	8
3.2.2 Verbrauch	8
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	8
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	9
3.2.5 Jahrestherapiekosten	9
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	10
3.2.7 Versorgungsanteile.....	11
3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)	11
4 Literatur	12
Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen	13

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	8
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	10

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
CTD	Common Technical Document
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
ICD-10	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems, Revision 10 (Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision)
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

1.1 Anwendungsgebiet

Nirogacestat als Monotherapie wird angewendet für die Behandlung erwachsener Patientinnen und Patienten mit fortschreitenden Desmoidtumoren, die eine systemische Behandlung erfordern.

1.2 Verlauf des Projekts

Nirogacestat ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die folgenden Angaben zu bewerten:

- Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV)
- Kosten der Therapie für die GKV
- Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V

Das Dossier wurde dem IQWiG am 14.10.2025 übermittelt.

Die vorliegende Bewertung wurde unter Einbindung eines externen Sachverständigen (eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) erstellt. Diese Beratung beinhaltete die schriftliche Beantwortung von Fragen zu den Themenbereichen Krankheitsbild / Krankheitsfolgen, Therapieziele, Patientinnen und Patienten im deutschen Versorgungsalltag, Therapieoptionen, therapeutischer Bedarf und Stand der medizinischen Praxis. Darüber hinaus konnte eine Einbindung im Projektverlauf zu weiteren spezifischen Fragen erfolgen. Alle Beteiligten außerhalb des IQWiG, die in das Projekt eingebunden wurden, erhielten keine Einsicht in das Dossier des pU.

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dokuments angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

¹ nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird zur Veröffentlichung an den G-BA übermittelt, der ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Über die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der G-BA.

1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) und der Bewertung des Ausmaßes des gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens durch den G-BA auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren durch. Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Ggf. werden vom G-BA außerdem Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung adressiert. Aus diesen Gründen sind die Bewertung des Zusatznutzens und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung nicht Gegenstand dieses Berichts.

3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Der pU stellt die Desmoidtumoren nachvollziehbar und plausibel dar. Die Zielpopulation charakterisiert er korrekt gemäß der Fachinformation von Nirogacestat [1]. Demnach wird Nirogacestat als Monotherapie angewendet für die Behandlung erwachsener Patientinnen und Patienten mit fortschreitenden Desmoidtumoren, die eine systemische Behandlung erfordern.

3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der GKV über mehrere Schritte, die in Tabelle 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.

Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil [%]	Ergebnis (Patientenzahl) ^a
1	Summe der Inzidenzen der Desmoidtumoren der Jahre 2020 bis 2024 in Deutschland	–	1260–2251
2	erwachsene Patientinnen und Patienten	92,35	1164–2079
3	lebende Patientinnen und Patienten	96,00	1118–1996
4	Patientinnen und Patienten mit fortschreitender Erkrankung	46,96	525–938
5	Patientinnen und Patienten mit systemischer Therapie	76,00	399–713
6	Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	88,03	352–628
a. Aufrundung durch den pU auf die nächste ganze Zahl GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

Schritt 1: Summe der Inzidenzen der Desmoidtumoren der Jahre 2020 bis 2024 in Deutschland

Als Ausgangsbasis für seine Berechnung schätzt der pU die Summe der Inzidenzen der Desmoidtumoren der Jahre 2020 bis 2024.

Für die untere Grenze der Inzidenz zieht der pU die deskriptive Studie von Penel et al. [2] heran. Darin wurden unter Einbezug von 2 Expertennetzwerken zur Diagnose und Behandlung von Weichteiltumoren Daten von 863 Patientinnen und Patienten mit Desmoidtumoren aus Frankreich im Zeitraum vom 1. Januar 2010 bis 31. Dezember 2013 ausgewertet. Anhand der im Jahr 2010 neu diagnostizierten Fälle (n = 173) und der Angaben des Nationalen Instituts für Statistik und Wirtschaftsstudien zur Gesamtbevölkerung Frankreichs zum 01. Januar 2011 (n = 64 933 400) [3] berechnet der pU eine Inzidenzrate von 0,3 pro 100 000 Personen [4]. Diese Inzidenzrate ist ebenfalls in dem vom pU zitierten Orphanet Report [5] aus dem Jahr 2024 genannt.

Für die obere Grenze der Inzidenz verweist der pU auf die Kohortenstudie von van Broekhoven et al. [6], für welche Daten aus dem Dutch Pathology Registry von Patientinnen und Patienten, bei denen in den Jahren 1993 bis 2013 eine extraabdominale oder abdominale aggressive Fibromatose diagnostiziert worden war (n = 1134), verwendet wurden. Demnach lag im Jahr 2013 die Inzidenzrate von Patientinnen und Patienten mit aggressiver Fibromatose (synonym: Desmoidtumoren) bei 5,36 pro 1 Millionen Personen (entspricht 0,536 pro 100 000 Personen).

Anschließend ermittelt der pU die Anzahl der Neuerkrankungen in Deutschland der Jahre 2020 bis 2024, indem er die ermittelte Spanne der Inzidenz auf die Ergebnisse der 15. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung (Basis: 31.12.2021, Variante G2-L2-W2 [moderate Entwicklung der Geburtenhäufigkeit, der Lebenserwartung und des Wanderungssaldos]) des Statistischen Bundesamtes bzw. auf die Fortschreibung des Bevölkerungsstandes auf Basis des Zensus 2011 des Statistischen Bundesamts [7,8] anwendet. Der pU summiert die berechneten Anzahlen der neu erkrankten Patientinnen und Patienten der jeweiligen Jahre und gibt als Ergebnis eine Anzahl von 1260 bis 2251 Patientinnen und Patienten mit Desmoidtumoren in Deutschland an.

Schritt 2: Erwachsene Patientinnen und Patienten

Für den Anteilswert der Erwachsenen zieht der pU den Bericht des Statistischen Bundesamtes „Diagnosen der Krankenhauspatienten“ heran. Dieser enthält für alle vierstelligen Positionen der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision (ICD-10) die Fallzahlen der im Berichtsjahr 2022 aus dem Krankenhaus entlassenen vollstationären Patientinnen und Patienten [9]. Von 2092 Patientinnen und Patienten mit der Hauptdiagnose D48.1 („Neubildung unsicheren oder unbekannten Verhaltens: Bindegewebe und andere Weichteilgewebe“) waren 92,35 % (n = 1932) erwachsen. Der pU überträgt diesen Anteilswert auf Schritt 1 und berechnet eine Anzahl von 1164 bis 2079 erwachsenen Patientinnen und Patienten.

Schritt 3: Lebende Patientinnen und Patienten

Zur Berechnung einer 5-Jahres-Prävalenz grenzt der pU die Patientenzahl aus Schritt 2 auf laut pU zum gegenwärtigen Zeitpunkt lebende Patientinnen und Patienten ein. Hierfür setzt er basierend auf der Publikation von Anneberg et al. [10] einen Anteilswert in Höhe von 96 % an. In dieser wurden Daten von 179 erwachsenen Patientinnen und Patienten mit Desmoidtumoren aus Dänemark ausgewertet. Erwachsene Patientinnen und Patienten wurden eingeschlossen, deren Tumoren mit den Morphologie Codes M8822/1 („Abdominale Fibromatose“) oder M8821/1 („Aggressive Fibromatose“) gemäß der Internationalen Klassifikation der Krankheiten für die Onkologie (ICD-O) kodiert wurden und vom 1. Januar 2009 bis 30. November 2018 in einem der 2 nationalen Sarkomzentren in Dänemark aufgrund von Desmoidtumoren behandelt wurden. Der pU entnimmt der Publikation eine 5-Jahres-Mortalitätsrate in Höhe von 4 %. Den im Umkehrschluss berechneten Anteilswert von 96 % überträgt er auf das Ergebnis aus Schritt 2 und berechnet so eine Anzahl von 1118 bis 1996 lebenden Patientinnen und Patienten.

Schritt 4: Patientinnen und Patienten mit fortschreitender Erkrankung

Zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten mit Progression legt der pU den Abstract von Mercier et al. [11] zugrunde. Dieser beschreibt eine Analyse der globalen, umfragebasierten Natural History Study der Desmoid Tumor Research Foundation, in welcher von September 2017 bis August 2023 Daten von Patientinnen und Patienten und / oder ihren Betreuerinnen und Betreuern über die Diagnose und Behandlung von Desmoidtumoren erhoben wurden.

Von 345 Teilnehmenden berichteten 46,96 % (n = 162) von einem anhaltenden Tumorwachstum unabhängig vom Vorbehandlungsstatus. Unter Berücksichtigung dieses Anteilswertes ermittelt der pU eine Spanne von 525 bis 938 Patientinnen und Patienten mit fortschreitender Erkrankung.

Schritt 5: Patientinnen und Patienten mit systemischer Therapie

Für den Anteil der Patientinnen und Patienten mit systemischer Therapie greift der pU erneut auf den Abstract von Mercier et al. [11] zurück. Diesem entnimmt er einen Anteilswert in Höhe von 76 % (281 von 369) für Patientinnen und Patienten, welche eine systemische Therapie erhalten haben. Davon umfasst waren u. a. nichtsteroidale Antirheumatika, Tyrosinkinase-Inhibitoren, Chemotherapeutika und Hormonantagonisten.

Der pU wendet den Anteilswert auf Schritt 4 an und ermittelt eine Spanne von 399 bis 713 Patientinnen und Patienten mit systemischer Therapie.

Schritt 6: Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Unter der Annahme eines GKV-Anteils unter den Betroffenen in Höhe von 88,03 % [8,12] ermittelt der pU eine Anzahl von 352 bis 628 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist rechnerisch nachvollziehbar. Es liegen jedoch in mehreren Schritten methodische Limitationen und Unsicherheiten vor. Insgesamt ist die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation mit Unsicherheit behaftet. Die maßgeblichen Gründe für diese Bewertung werden im Folgenden dargestellt.

Zu Schritt 1: Summe der Inzidenzen der Desmoidtumoren der Jahre 2020 bis 2024 in Deutschland

Angesichts der vom pU berechneten 5-Jahres-Überlebensrate in Höhe von 96 % ist auch mit Patientinnen und Patienten zu rechnen, die länger als 5 Jahre an Desmoidtumoren erkrankt sind. Diese sind jedoch bei der Herleitung nicht berücksichtigt.

Darüber hinaus berücksichtigt die vom pU angesetzte Obergrenze keine intra-abdominalen Desmoidtumoren. Dies führt tendenziell zu einer Unterschätzung.

Zu Schritt 2: Erwachsene Patientinnen und Patienten

Wie der pU selbst anmerkt, werden mit dem ICD-10-Code D48.1 („Neubildung unsicheren oder unbekannten Verhaltens: Bindegewebe und andere Weichteilgewebe“) neben Desmoidtumoren auch andere onkologische Erkrankungen kodiert, sodass der angesetzte Anteilswert mit Unsicherheit behaftet ist.

Darüber hinaus bezieht sich der Anteilswert ausschließlich auf vollstationäre Patientinnen und Patienten. Dies führt zu weiterer Unsicherheit.

Zu den Schritten 4 und 5: Patientinnen und Patienten mit fortschreitender Erkrankung bzw. mit systemischer Therapie

Bei der vom pU herangezogenen Quelle von Mercier et al. handelt es sich lediglich um ein Abstract der Analyse [11]. Hierbei ist zu beachten, dass keine weiteren Informationen (z. B. Angaben zur Studienpopulation oder Messung des Tumorwachstums) vorliegen. Auf dieser Grundlage ist keine tiefergehende Bewertung der vom pU veranschlagten Anteilswerte für die Schritte 4 und 5 möglich.

Zudem beruhen die Anteilswerte auf Personen, die bereits eine systemische Therapie erhalten hatten. Für die Übertragbarkeit auf die Patientenpopulation in Schritt 3 sind jedoch

Anteilswerte für Patientinnen und Patienten relevant, die im Betrachtungsjahr eine fortschreitende Erkrankung aufweisen, die eine systemische Therapie erfordert.

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Für die nächsten 5 Jahre geht der pU von einer gleichbleibenden Inzidenz der Desmoidtumoren aus. Da er auch keine größere Veränderung bezüglich der Bevölkerungsgröße in der bewertungsrelevanten Altersgruppe erwartet, geht er folglich von konstanten Anzahlen der GKV-Zielpopulation für die Jahre 2026 bis 2030 aus.

3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Nirogacestat	Erwachsene mit fortschreitenden Desmoidtumoren, die eine systemische Behandlung erfordern	352–628	Die vom pU angegebenen Patientenzahlen sind insgesamt mit Unsicherheit behaftet.
a. Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)

Die Angaben des pU zu den Kosten der Therapie für die GKV befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Nirogacestat entsprechen der Fachinformation [1].

Da in der Fachinformation [1] keine maximale Behandlungsdauer quantifiziert ist, wird in der vorliegenden Bewertung rechnerisch die Behandlung über das gesamte Jahr zugrunde gelegt, auch wenn die tatsächliche Behandlungsdauer patientenindividuell unterschiedlich ist.

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch von Nirogacestat entsprechen der Fachinformation [1].

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Der pU gibt das Datum der Abfrage in der Lauer-Taxe nicht an. Jedoch stimmen die Angaben des pU mit dem Stand der Lauer-Taxe vom 15.10.2025 überein.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU veranschlagt keine zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen. Abweichend von der Angabe des pU können gemäß der Fachinformation [1] jedoch Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen, wie zum Beispiel die regelmäßige Überwachung der Leberwerte, angesetzt werden.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Nirogacestat Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 260 760,82 €. Sie bestehen ausschließlich aus Arzneimittelkosten. Die Angaben des pU zu den Arzneimittelkosten sind plausibel. Es können Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen angesetzt werden, die der pU nicht veranschlagt.

3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahrestherapiekosten in € ^a	Kommentar
Nirogacestat	Erwachsene mit fortschreitenden Desmoidtumoren, die eine systemische Behandlung erfordern	260 760,82	0	0	260 760,82	Die Angaben des pU zu den Arzneimittelkosten sind plausibel. Es können Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen angesetzt werden, die der pU nicht veranschlagt.
a. Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

3.2.7 Versorgungsanteile

Der pU beschreibt, dass derzeit keine fundierte Einschätzung der zu erwartenden Versorgungsanteile möglich ist. Er macht Angaben zu Kontraindikationen und Therapieabbruchraten und geht davon aus, dass die Behandlung hauptsächlich im ambulanten Sektor stattfindet.

3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.6) des Dossiers.

Der pU macht Angaben zu 3 Studien (DeFi [NIR-DT-301], 14-C-0007, A8641014) und gibt über diese Studien den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V mit 4,3 % an.

Für die Studie 14-C-0007 wird im Common Technical Document (CTD) als Sponsor das National Cancer Institute genannt. Es ist unklar, inwiefern der pU an der genannten Studie beteiligt war. Die Studie wurde ausschließlich in anderen Ländern durchgeführt. Sie umfasst lediglich 17 Patientinnen und Patienten und hat damit nur einen geringen Einfluss auf das Ergebnis.

Im Abgleich mit dem CTD wurden weitere Studien identifiziert, welche der Zulassungsbehörde für die Beurteilung der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet übermittelt wurden. Dies betrifft mindestens die Studie A8641020 mit vorliegendem Studienregistereintrag. Für diese lässt sich dem Studienregistereintrag entnehmen, dass sie ausschließlich in anderen Ländern durchgeführt wurde.

Unter Berücksichtigung der Studien, für die bereits Angaben vorliegen, beträgt der Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V, wie auch vom pU angegeben, weniger als 5 %.

4 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. SpringWorks Therapeutics Ireland. Ogsiveo 50 mg, 100 mg, 150 mg Filmtabletten [online]. 08.2025 [Zugriff: 16.10.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de/>.
2. Penel N, Coindre J-M, Bonvalot S et al. Management of desmoid tumours: a nationwide survey of labelled reference centre networks in France. Eur J Cancer 2016; 58: 90–96.
3. INSEE. Total population, on 1st January; France (including Mayotte since 2014); Identifier 001641586 [online]. 2025 [Zugriff: 16.10.2025]. URL: <https://www.insee.fr/en/statistiques/serie/001641586>.
4. SpringWorks Therapeutics Ireland. Excel-Tabelle zur Herleitung der Patientenzahlen. 2025.
5. Orphanet. Prevalence and incidence of rare diseases: Bibliographic data. 2024.
6. van Broekhoven DLM, Grünhagen DJ, den Bakker MA et al. Time trends in the incidence and treatment of extra-abdominal and abdominal aggressive fibromatosis: a population-based study. Ann Surg Oncol 2015; 22: 2817–2823.
7. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung: Deutschland, Stichtag; Code: 12411-0001; Verfügbarer Zeitraum: 31.12.1950 - 31.12.2023. 2025.
8. Statistisches Bundesamt. 15. koordinierte Bevölkerungsvorausberechnung für Deutschland. Variante 2: Moderate Entwicklung der Geburtenhäufigkeit, Lebenserwartung und Wanderungssaldo (G2L2W2). 2025.
9. Statistisches Bundesamt. Statistischer Bericht - Diagnosen der Krankenhauspatienten - 2022. 2023. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Krankenhaeuser/Publikationen/Downloads-Krankenhaeuser/statistischer-bericht-diagnosedaten-5231301227015.html>.
10. Anneberg M, Svane HML, Fryzek J et al. The epidemiology of desmoid tumors in Denmark. Cancer Epidemiol 2022; 77: 102114.
11. Mercier KA, Hernandez L, Lucas A et al. Treatment landscape for desmoid tumors: Desmoid Tumor Research Foundation Natural History Study. 2024.
12. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung - Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand - Jahresdurchschnitt 2024. 2025.

Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen

Externe Sachverständige

Diese Dossierbewertung wurde unter Einbindung eines externen Sachverständigen (eines medizinisch-fachlichen Beraters) erstellt. Medizinisch-fachliche Beraterinnen oder Berater, die wissenschaftliche Forschungsaufträge für das Institut bearbeiten, haben gemäß § 139b Abs. 3 Satz 2 SGB V „alle Beziehungen zu Interessenverbänden, Auftragsinstituten, insbesondere der pharmazeutischen Industrie und der Medizinprodukteindustrie, einschließlich Art und Höhe von Zuwendungen“ offenzulegen. Das Institut hat von dem Berater ein ausgefülltes Formular „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ erhalten. Die Angaben wurden durch das speziell für die Beurteilung der Interessenkonflikte eingerichtete Gremium des Instituts bewertet. Es wurden keine Interessenkonflikte festgestellt, die die fachliche Unabhängigkeit im Hinblick auf eine Bearbeitung des vorliegenden Auftrags gefährden. Im Folgenden sind die Angaben zu Beziehungen zusammengefasst. Alle Informationen beruhen auf Selbstangaben der Person anhand des „Formblatts zur Offenlegung von Beziehungen“. Die in diesem Formblatt verwendeten Fragen befinden sich im Anschluss an diese Zusammenfassung.

Name	Frage 1	Frage 2	Frage 3	Frage 4	Frage 5	Frage 6	Frage 7
Jakob, Jens	ja	ja	ja	ja	nein	nein	ja

Im „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ wurden folgende 7 Fragen gestellt:

Frage 1: Sind oder waren Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor bei einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband angestellt oder für diese / dieses / diesen selbstständig oder ehrenamtlich tätig bzw. sind oder waren Sie freiberuflich in eigener Praxis tätig?

Frage 2: Beraten Sie oder haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor eine Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. eine Klinik, eine Einrichtung der Selbstverwaltung, eine Fachgesellschaft, ein Auftragsforschungsinstitut), ein pharmazeutisches Unternehmen, einen Medizinproduktehersteller oder einen industriellen Interessenverband beraten (z. B. als Gutachter/-in, Sachverständige/r, in Zusammenhang mit klinischen Studien als Mitglied eines sogenannten Advisory Boards / eines Data Safety Monitoring Boards [DSMB] oder Steering Committees)?

Frage 3: Haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor direkt oder indirekt von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband Honorare erhalten (z. B. für Vorträge, Schulungstätigkeiten, Stellungnahmen oder Artikel)?

Frage 4: Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband sogenannte Drittmittel erhalten (d. h. finanzielle Unterstützung z. B. für Forschungsaktivitäten, die Durchführung klinischer Studien, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen)? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

Frage 5: Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor sonstige finanzielle oder geldwerte Zuwendungen, z. B. Ausrüstung, Personal, Unterstützung bei der Ausrichtung einer Veranstaltung, Übernahme von Reisekosten oder Teilnahmegebühren für Fortbildungen / Kongresse erhalten von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft,

einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

Frage 6: Besitzen Sie Aktien, Optionsscheine oder sonstige Geschäftsanteile einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einem Auftragsforschungsinstitut), eines pharmazeutischen Unternehmens, eines Medizinprodukteherstellers oder eines industriellen Interessenverbands? Besitzen Sie Anteile eines sogenannten Branchenfonds, der auf pharmazeutische Unternehmen oder Medizinproduktehersteller ausgerichtet ist? Besitzen Sie Patente für ein pharmazeutisches Erzeugnis, ein Medizinprodukt, eine medizinische Methode oder Gebrauchsmuster für ein pharmazeutisches Erzeugnis oder ein Medizinprodukt?

Frage 7: Sind oder waren Sie jemals an der Erstellung einer medizinischen Leitlinie oder klinischen Studie beteiligt, die eine mit diesem Projekt vergleichbare Thematik behandelt/e? Gibt es sonstige Umstände, die aus Sicht von unvoreingenommenen Betrachtenden als Interessenkonflikt bewertet werden können, z. B. Aktivitäten in gesundheitsbezogenen Interessengruppierungen bzw. Selbsthilfegruppen, politische, akademische, wissenschaftliche oder persönliche Interessen?