

Tovorafenib (malignes Gliom)

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

A horizontal bar composed of 18 squares of varying shades of blue and grey, spanning the width of the page. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is centered in white text on a dark blue segment of the bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G26-11

Version: 1.0

Stand: 11.08.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2309

DOI: 10.60584/G26-11

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Tovorafenib (malignes Gliom) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

15.05.2026

Interne Projektnummer

G26-11

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G26-11>

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. Tovorafenib (malignes Gliom); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G26-11>.

Schlagwörter

Tovorafenib, Gliom, Kind, Adolescent, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Tovorafenib, Glioma, Child, Adolescent, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

Für die vorliegende Dossierbewertung wurde keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen eingebunden.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Min Ripoll
- Christiane Balg
- Judith Kratel
- Sarah Mostardt

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
1 Hintergrund.....	1
2 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	2
2.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....	2
2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	2
2.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	2
2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	2
2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	5
2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	7
2.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	7
2.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	7
2.2.1 Behandlungsdauer.....	7
2.2.2 Verbrauch	8
2.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	8
2.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	8
2.2.5 Jahrestherapiekosten	8
2.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	9
2.2.7 Versorgungsanteile.....	10
3 Literatur	11

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	2
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	7
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	9

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
AWMF	Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften
BRAF	Rapidly accelerated Fibrosarcoma-Isoform-B
DKKR	Deutsches Kinderkrebsregister
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
LGG	Low-grade Glioma (niedriggradig malignes Gliom)
pU	pharmazeutischer Unternehmer

1 Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) beauftragte das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) 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

Das Dossier wurde dem IQWiG am 15.05.2026 übermittelt.

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.

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

2 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

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

2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Die Erkrankung niedriggradig malignes Gliom (LGG) stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß den Fachinformationen [1,2]. Tovorafenib wird als Monotherapie angewendet für die Behandlung von Patientinnen und Patienten ab 6 Monaten mit pädiatrischem LGG mit einer Rapidly-accelerated-Fibrosarcoma-Isoform-B(BRAF)-Fusion oder -Umlagerung oder einer BRAF-V600-Mutation, die nach 1 oder mehreren systemischen Therapien progredient sind.

2.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

2.1.2.1 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 (Personenzahl)
Ausgangsbasis	Gesamtbevölkerung in Deutschland im Alter von 0 bis 17 Jahren im Jahr 2026	–	13 721 500
1	Patientinnen und Patienten mit einem LGG	0,00186–0,01858 ^a	255–2421
2	Patientinnen und Patienten mit einer BRAF-Fusion oder -Umlagerung oder einer BRAF-V600-Mutation	52,83	135–1279
3	Patientinnen und Patienten, die mindestens 1 systemische Therapie erhalten haben	13,89–24,46	19–313
4	Patientinnen und Patienten, die nach 1 oder mehreren systemischen Therapien progredient sind	34,3–56	7–175
5	GKV-Anteil	89,16	6–156
a. Untergrenze: Inzidenz; Obergrenze: 10-Jahres-Inzidenz unter Berücksichtigung einer 10-Jahres-Überlebensrate von 95 % BRAF: Rapidly accelerated Fibrosarcoma-Isoform-B; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; LGG: niedriggradig malignes Gliom; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

Ausgangsbasis: Gesamtbevölkerung in Deutschland im Alter von 0 bis 17 Jahren im Jahr 2026

Der pU weist für die Ausgangsbasis eine Anzahl von 13 721 500 Kindern und Jugendlichen im Alter von unter 18 Jahren für das Jahr 2026 aus. Dabei gibt er als Quelle die Daten der 16. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung des Statistischen Bundesamts an (Basis: 31.12.2024, Variante G2-L2-W1 – moderate Entwicklung der Geburtenhäufigkeit und Lebenserwartung bei niedrigem Wanderungssaldo) [3].

Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit einem LGG

Um die Anzahl der pädiatrischen Patientinnen und Patienten mit einem LGG zu berechnen, bildet der pU eine Spanne.

Untere Grenze: Inzidenz pädiatrisches LGG

Für die Berechnung der unteren Grenze zieht der pU eine Publikation von Gnekow et al. heran [4], die ebenfalls im Verfahren zu Dabrafenib und Trametinib aus dem Jahr 2024 im ähnlichen Anwendungsgebiet [5,6] für die Herleitung der GKV-Zielpopulation herangezogen wurde. In dieser Publikation wurden epidemiologische Daten der Jahre 1996 bis 2018 zum pädiatrischen LGG basierend auf 3 konsekutiven deutschen Studien bzw. Registern (HIT-LGG [01.10.1996 bis 31.03.2004], SIOP-LGG [01.04.2004 bis 31.03.2012] und LGG-Register [01.04.2012 bis 31.12.2018]) sowie Daten des Deutschen Kinderkrebsregisters (DKKR) ausgewertet. Basierend auf den jeweiligen jährlichen rohen Inzidenzraten von Kindern und Jugendlichen unter 18 Jahren der Jahre 2009 bis 2018 berechnet der pU daraus einen Mittelwert in Höhe von 1,86 pro 100 000 Kinder und Jugendlichen. Anschließend überträgt der pU diese Inzidenzrate auf die Ausgangsbasis und ermittelt so eine Anzahl von 255 neu erkrankten Kindern und Jugendlichen mit LGG im Jahr 2026.

Obere Grenze: 10-Jahres-Inzidenz pädiatrisches LGG unter Berücksichtigung einer 10-Jahres-Überlebensrate

Für die Berechnung der oberen Grenze zieht der pU erneut die Publikation von Gnekow et al. [4] heran. Zunächst summiert er die Gesamtzahl aller dokumentierten Neuerkrankungen der Jahre 2009 bis 2018 der zuvor erwähnten 3 Studien bzw. Register und des DKKR (n = 2475). Außerdem ermittelt er für diesen Zeitraum eine durchschnittliche Anzahl von 13 317 548 Personen unter 18 Jahren basierend auf den Angaben der Fortschreibung des Bevölkerungsstandes auf Grundlage des Zensus 2011 des Statistischen Bundesamtes [7]. Mithilfe dieser beiden Angaben berechnet der pU einen Anteil von 18,58 Fälle mit LGG pro 100 000 Kinder und Jugendliche unter 18 Jahren.

Anschließend werden verstorbene Patientinnen und Patienten herausgerechnet. Dafür wird der Mittelwert der von Gnekow et al. [4] berichteten 10-Jahres-Überlebensraten verwendet, der bei 95 % liegt (HIT-LGG: 93,7 %; SIOP-LGG: 96,2 %). Das LGG-Register wurde aufgrund der kurzen medianen Beobachtungszeit von 3,8 Jahren nicht berücksichtigt [4].

Zuletzt wendet der pU diese beiden Anteile (18,58 pro 100 000 Kinder und Jugendliche sowie 95 %) auf die Ausgangsbasis an und ermittelt eine Anzahl von 2421 Kindern und Jugendlichen mit LGG im Jahr 2026.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit einer BRAF-Fusion oder -Umlagerung oder einer BRAF-V600E-Mutation

Um den Anteil der Patientinnen und Patienten mit einer BRAF-Fusion oder -Umlagerung oder einer BRAF-V600E-Mutation zu bestimmen, zieht der pU eine Publikation von Ryall et al. zur molekularen und klinischen Analyse beim pädiatrischen LGG heran [8]. In dieser werden Daten von 976 Kindern und Jugendlichen mit LGG im Alter von 0 bis 18,7 Jahren beschrieben, welche in einem kanadischen Krankenhaus („SickKids“) behandelt wurden. Von den zwischen 2000 und 2017 diagnostizierten 477 Patientinnen und Patienten mit ausreichendem Material für die molekulare Profilierung wiesen 52,83 % ($n = 252$) eine BRAF-Fusion oder -Umlagerung oder eine BRAF-V600E-Mutation auf.

Der pU wendet diesen Anteilswert auf die untere und obere Grenze von Schritt 1 an und bestimmt eine Spanne von 135 bis 1279 Patientinnen und Patienten mit einer BRAF-Fusion oder -Umlagerung oder einer BRAF-V600E-Mutation.

Schritt 3: Patientinnen und Patienten, die mindestens 1 systemische Therapie erhalten haben

Der pU operationalisiert den Erhalt mindestens einer systemischen Therapie über den Erhalt einer Chemotherapie in der unteren Grenze bzw. einer nicht chirurgischen Therapie in der oberen Grenze. Hierzu greift er erneut auf die Angaben zum LGG-Register in der Publikation von Gnekow et al. zurück [4].

Untere Grenze

Für die untere Grenze summiert der pU die Anzahl der Patientinnen und Patienten, welche innerhalb 1 Jahres ab Diagnosezeitpunkt eine nicht chirurgische Therapie erhalten haben ($n = 314$) und berechnet zunächst einen Anteil in Höhe von 17,1 % an allen eingeschlossenen Patientinnen und Patienten des Registers ($n = 1836$) [4]. Anschließend grenzt der pU auf solche Patientinnen und Patienten ein, die eine Chemotherapie statt einer Radiotherapie in der Erstlinie erhalten haben. Aus einer Patientengruppe mit 449 Patientinnen und Patienten mit einer nicht chirurgischen Therapie in der Erstlinie erhielt eine Anzahl von 364 (81,07 %) eine Chemotherapie [4]. Die Daten wurden unabhängig von der Zeitspanne zwischen der Diagnose und einer Erstlinientherapie erhoben. Daraufhin wendet der pU den neuen Anteil ($17,1 \% * 81,07 \% = 13,89 \%$) auf die untere Grenze aus Schritt 2 an und erhält eine Anzahl von 19 Patientinnen und Patienten, welche eine Chemotherapie erhalten haben.

Obere Grenze

Für die obere Grenze summiert der pU die Anzahl der Patientinnen und Patienten des LGG-Registers (2012 bis 2018), welche innerhalb des Auswertungszeitraums eine nicht chirurgische Erstlinientherapie erhalten haben ($n = 449$) und berechnet anschließend einen Anteil in Höhe von 24,46 % an allen eingeschlossenen Patientinnen und Patienten des Registers ($n = 1836$) [4]. Danach wendet er diesen Anteil auf die obere Grenze aus Schritt 2 an und erhält eine Anzahl von 313 Patientinnen und Patienten, welche eine nicht chirurgische Therapie erhalten haben.

Schritt 4: Patientinnen und Patienten, die nach 1 oder mehreren systemischen Therapien progredient sind

Untere Grenze

Für die untere Grenze zieht der pU die Publikation von Kandels et al. [9] heran. In dieser wurden epidemiologische Daten der Jahre 2004 bis 2012 zum pädiatrischen LGG basierend auf dem Register SIOP-LGG ausgewertet. Es wurden Daten von 1558 pädiatrischen Patientinnen und Patienten mit einem LGG in 81 deutschen Zentren analysiert. Dort wurde für Patientinnen und Patienten nach einer erstmaligen Chemotherapie ein 3-Jahres-progressionsfreies Überleben von 65,7 % berichtet. Umgekehrt bedeutet dies, dass 34,3 % der Patientinnen und Patienten innerhalb von 3 Jahren ein Rezidiv oder einen Progress erlitten oder verstarben. Der pU wendet diesen Anteil auf die untere Grenze aus Schritt 3 an und erhält eine Anzahl von 7 Patientinnen und Patienten, welche einer erstmaligen Chemotherapie progredient sind.

Obere Grenze

Für die obere Grenze greift der pU auf die Angaben zum HIT-LGG (1996 bis 2004) in einer weiteren Publikation von Gnekow et al. zurück [10] mit einer Analyse von 1031 pädiatrischen Patientinnen und Patienten mit LGG aus Deutschland, Österreich, Schweiz und Belgien. Es wurde ein 10-Jahres-progressionsfreies Überleben von 44 % für Patientinnen und Patienten nach Chemotherapie berichtet. Im Umkehrschluss bildet der pU einen Anteil in Höhe von 56 % für einen Progress und wendet ihn auf die obere Grenze aus Schritt 3 an. Somit resultiert eine Anzahl von 175 Patientinnen und Patienten, die nach ein oder mehreren systemischen Therapien progredient sind.

Schritt 5: GKV-Anteil

Ausgehend von einem GKV-Anteil in Höhe von 89,16% [11,12] berechnet der pU eine Spanne von 6 bis 156 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU zur Schätzung der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist rechnerisch weitgehend nachvollziehbar. Die Untergrenze stellt eine Unterschätzung dar, während die Obergrenze unsicher ist. Im Folgenden werden maßgebliche Gründe aufgeführt.

Zu Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit einem LGG

Untere Grenze

Für die Herleitung der unteren Grenze nutzt der pU die verfügbaren Inzidenzraten des Zeitraums 2009 bis 2018 aus der Publikation von Gnekow et al. [4]. Somit berücksichtigt der pU ausschließlich Patientinnen und Patienten, die im aktuellen Jahr diagnostiziert werden und nach einer systemischen Therapie progredient sind.

Es ist darauf hinzuweisen, dass auch Patientinnen und Patienten, die in vergangenen Jahren diagnostiziert wurden oder nach mehreren systemischen Therapien progredient sind, vom Anwendungsgebiet umfasst sind [1,2].

Obere Grenze

Es ist einerseits unklar, inwieweit Patientinnen und Patienten eingeschlossen wurden, welche zum Ende des Erhebungszeitraums (2018) älter als 17 Jahre waren und somit nicht mehr in die Zielpopulation fielen. Andererseits ist unklar, inwieweit Patientinnen und Patienten ausgeschlossen wurden, welche vor dem Jahr 2009 eine Diagnose erhielten und zum Ende des Erhebungszeitraums noch in die Zielpopulation fielen.

Zu Schritt 3: Patientinnen und Patienten, die bereits mindestens eine systemische Therapie erhalten haben

Obere Grenze

Der vom pU berechnete Anteilswert der oberen Grenze zu Patientinnen und Patienten, welche eine nicht chirurgische Therapie erhalten haben, umfasst Patientinnen und Patienten mit sowohl chemotherapeutischen als auch strahlentherapeutischen Behandlungen [4]. Es ist unklar, in wie vielen Fällen eine Strahlentherapie ohne Chemotherapie erfolgt ist. Gemäß den Fachinformationen sind allerdings nur Patientinnen und Patienten, welche eine systemische Therapie benötigen, vom Anwendungsgebiet umfasst [1,2].

Untere und obere Grenze

Zudem bezieht sich die Publikation von Gnekow et al. [4] auf pädiatrische Patientinnen und Patienten mit LGG allgemein und weist keinen spezifischen Anteilswert für diejenigen mit einer BRAF-Fusion oder -Umlagerung oder einer BRAF-V600-Mutation aus. Daher ist die Übertragbarkeit des Anteilswerts auf Schritt 2 fraglich.

Zu Schritt 4: Patientinnen und Patienten, die nach ein oder mehreren systemischen Therapien progredient sind

Untere Grenze

Es ist darauf hinzuweisen, dass der pU einen Anteilswert für das progressionsfreie Überleben auf Basis eines 3-Jahres-Zeitraums verwendet. Für die Untergrenze auf Basis der Inzidenz

werden dadurch Patientinnen und Patienten vernachlässigt, die zu einem späteren Zeitpunkt progredient sind.

Obere Grenze

Der pU überträgt einen Anteil für einen Progress nach 10 Jahren auf Patientinnen und Patienten in Schritt 3, die jedoch basierend auf der 10-Jahres-Inzidenz eine unterschiedliche Erkrankungsdauer haben.

Untere und obere Grenze

Die verwendeten Quellen [9,10] beinhalten älteren Datenstand, der über 10 Jahre zurückliegt. Neuere Daten wären wünschenswert.

2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Basierend auf den zuletzt stabilen Anzahlen der jährlichen Neuerkrankungen aus der Publikation von Gnekow et al. [4] geht der pU davon aus, dass die Inzidenzrate sowie die Prävalenzrate des pädiatrischen LGG in den nächsten 5 Jahren stabil bleiben wird.

2.1.2.4 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
Tovorafenib	Patientinnen und Patienten ab 6 Monaten mit pädiatrischem LGG mit einer BRAF-Fusion oder -Umlagerung oder einer BRAF-V600-Mutation, die nach 1 oder mehreren systemischen Therapien progredient sind	6–156	Insgesamt ist die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation aus den oben genannten Gründen in der Untergrenze unterschätzt und in der Obergrenze mit Unsicherheit behaftet.
a. Angabe des pU BRAF: Rapidly accelerated Fibrosarcoma-Isoform-B; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; LGG: niedriggradig malignes Gliom; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

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

2.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Tovorafenib entsprechen den Fachinformationen [1,2]. Die Behandlung sollte gemäß Fachinformationen „fortgesetzt werden, bis die Erkrankung fortschreitet, kein klinischer Nutzen mehr besteht oder eine nicht tolerierbare Toxizität auftritt“ [1,2]. Da in der Fachinformationen [1,2] 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. Dies entspricht dem Vorgehen des pU.

2.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen den Fachinformationen [1,2].

Tovorafenib wird 1-mal wöchentlich verabreicht. Der Dosierung von Tovorafenib richtet sich nach der Körperoberfläche. Der pU weist eine Dosis pro Gabe als Minimum (125 mg bei einer Körperoberfläche von 0,30 m² bis 0,35 m²) und als Maximum (600 mg bei einer Körperoberfläche $\geq$ 1,40 m²) gemäß Fachinformationen [1,2] aus. Für die Untergrenze setzt der pU unter Berücksichtigung des Verwurfs ein Verbrauch von 300 mg und für die Obergrenze von 600 mg Tovorafenib. Dies entspricht dem jeweiligen Verbrauch, wenn die durchschnittlichen Körpermaße gemäß den Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2017 [13] für die < 1-Jährigen als Untergrenze sowie für die 17- bis < 18-Jährigen [14] aus dem Jahr 2021 als Obergrenze zugrunde gelegt werden.

2.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Tovorafenib geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 15.05.2026 wieder. Tovorafenib steht als Pulver zu Herstellung einer Suspension zum Einnehmen (300 mg Wirkstoff pro Flasche) und als Tablette zu je 100 mg Wirkstoff zur Verfügung. Für die vom pU ausgewiesenen Jahrestherapiekosten liegt sowohl bei der Untergrenze als auch bei der Obergrenze die Suspension zugrunde. Liegt allerdings die Tablette bei der Bestimmung der Obergrenze der Jahrestherapiekosten zugrunde, ergeben sich niedrigere Jahrestherapiekosten. Bei der Bestimmung der Untergrenze der Jahrestherapiekosten ist es plausibel, die Suspension zugrunde zu legen.

2.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an. Dies ist plausibel.

2.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Tovorafenib Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 239 561,93 € bis 479 123,86 €. Sie bestehen ausschließlich aus Arzneimittelkosten für die Darreichungsform eines Pulvers zur Herstellung einer Suspension. Für die Untergrenze ist dies plausibel. Für die Obergrenze fallen unter Berücksichtigung der Darreichungsform Tabletten geringere Kosten an, als vom pU ausgewiesen.

2.2.6 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	Jahres-therapiekosten in € ^a	Kommentar
Tovorafenib	Patientinnen und Patienten ab 6 Monaten mit pädiatrischem LGG mit einer BRAF-Fusion oder -Umlagerung oder einer BRAF-V600-Mutation, die nach 1 oder mehreren systemischen Therapien progredient sind	239 561,93– 479 123,86	0	0	239 561,93– 479 123,86	Die Untergrenze ist plausibel. Für die Obergrenze fallen unter Berücksichtigung der Darreichungsform Tabletten geringere Kosten an, als vom pU ausgewiesen.
a. Angabe des pU BRAF: Rapidly accelerated Fibrosarcoma-Isoform-B; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; LGG: niedriggradig malignes Gliom; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

2.2.7 Versorgungsanteile

Der pU liefert keine quantitativen Angaben zu den erwarteten Versorgungsanteilen von Tovorafenib. Er unterscheidet die Zielpopulation in 2 Gruppen: Patientinnen und Patienten mit BRAF-V600E-Mutation sowie Patientinnen und Patienten mit BRAF-Fusion oder -Umlagerung. Für die 1. Gruppe erwartet der pU einen geringen Versorgungsanteil als für die 2. Gruppe.

Er stellt die Kontraindikationen gemäß den Fachinformationen [1,2] korrekt dar und gibt an, dass die Behandlungen überwiegend im ambulanten Bereich zu erwarten sind.

3 Literatur

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

1. IPSEN Pharma. Fachinformation Ojemda 25 mg/ml Pulver zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen [online]. 04.2026. URL: <https://www.fachinfo.de>.
2. Pharma. I. Fachinformation Ojemda (Tovorafenib) 100 mg Filmtabletten/25 mg/mL Pulver zur Herstellung einer oralen Suspension. Stand: April. 04.2026.
3. Statistisches Bundesamt. Vorausberechneter Bevölkerungsstand: Deutschland, Stichtag, Varianten der Bevölkerungsvorausberechnung, Geschlecht, Altersjahre. Stand: 18.03.2026 [online]. 2026 [Zugriff: 18.03.2026]. URL: <https://www-genesis.destatis.de/datenbank/online/table/12421-0002/table-toolbar>.
4. Gnekow AK, Kandels D, Pietsch T et al. Doubling Recruitment of Pediatric Low-grade Glioma within Two Decades does not change Outcome - Report from the German LGG Studies. Klin Padiatr 2021; 233(May): 107-122. <https://doi.org/10.1055/a-1471-5897>.
5. Novartis Pharma. Trametinib (Spexotras); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2024. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1081/#dossier>.
6. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Dabrafenib und Trametinib (malignes Gliom); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2024 [Zugriff: 25.07.2024]. URL: <https://doi.org/10.60584/G24-08>.
7. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung: Deutschland, Stichtag, Altersjahre. Stand: 18.03 [online]. 2026 [Zugriff: 18.03.2026]. URL: <https://www-genesis.destatis.de/datenbank/online/table/12411-0005/table-toolbar>.
8. Ryall S, Tabori U, Hawkins C. Pediatric low-grade glioma in the era of molecular diagnostics. Acta Neuropathol Commun 2020; 8(Mar 12): 30. <https://doi.org/10.1186/s40478-020-00902-z>.
9. Kandels D, Pietsch T, Bison B et al. Loss of efficacy of subsequent nonsurgical therapy after primary treatment failure in pediatric low-grade glioma patients—Report from the German SIOP-LGG 2004 cohort. Int J Cancer 2020; 147: 3471-3489. <https://doi.org/10.1002/ijc.33170>.
10. Gnekow AK, Falkenstein F, von Hornstein S et al. Long-term follow-up of the multicenter, multidisciplinary treatment study HIT-LGG-1996 for low-grade glioma in children and adolescents of the German Speaking Society of Pediatric Oncology and Hematology. Neuro Oncol 2012; 14(Oct): 1265-1284. <https://doi.org/10.1093/neuonc/nos202>.

11. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung. Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand. Monatswerte Januar - Februar 2026. Stand: 02.03.2026 [online]. 2026 [Zugriff: 18.03.2026]. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/KM1_Januar_bis_Februar_2026.pdf.
12. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung nach Nationalität und Geschlecht (Quartalszahlen). Stand 19. Dezember [online]. 2025 [Zugriff: 18.03.2026]. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsstand/Tabellen/liste-zensus-geschlecht-staatsangehoerigkeit-basis-2022.html#1425712>.
13. Statistisches Bundesamt. Mikrozensus - Fragen zur Gesundheit - Körpermaße der Bevölkerung; 2017 [online]. 2018 [Zugriff: 08.05.2023]. URL: https://www.statistischebibliothek.de/mir/servlets/MCRFileNodeServlet/DEHeft_derivate_00071441/5239003179004.pdf.
14. Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (Größe in m, Gewicht in kg). Gliederungsmerkmale: Jahre, Deutschland, Alter, Geschlecht; Jahr: 2021; Geschlecht: Alle Geschlechter [online]. 2026 [Zugriff: 30.06.2026]. URL: <https://www.gbe-bund.de/gbe/>.