Gemeinsamer Bundesausschuss
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

6. Oktober 2026

Stellungnahme zur
Nutzenbewertung des G-BA von Arzneimitteln für seltene Leiden gemäß § 35a SGB V

Dorocubicel
(Hämatologische Malignome, allogene hämatopoetische Stammzelltrans-plantation indiziert, keine Stammzellspende verfügbar)

veröffentlicht am 15. September 2026
Vorgangsnummer *2026-06-15-D-1359*
IQWiG Bericht

1. Zusammenfassung
2. Einleitung
3. Stand des Wissens
4. Dossier und Bewertung von Dorocubicel / nicht-expandierte allogene CD34-Zellen aus der Nabelschnur (Zemcelpro®)
5. Kombinationstherapie
6. Diskussion
7. Literatur

1. Zusammenfassung

Die frühe Nutzenbewertung von Dorocubicel / nicht-expandierte allogene CD34-Zellen aus der Nabelschnur (Zemcelpro®) ist das erste Verfahren zu diesem neuen Arzneimittel. Dorocubicel ist zugelassen zur allogenen Zelltherapie bei erwachsenen Patientinnen und Patienten (Pat.) mit hämatologischen Malignomen aus der Nabelschnur, bei denen eine allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation indiziert, aber keine Spende verfügbar ist. Der G-BA hat keine Subgruppen gebildet. Dorocubicel hat einen Orphan-Drug-Status. Der pharmazeutische Unternehmer hat kein Dossier eingereicht. Einen Überblick über Bewertungsvorschläge gibt Tabelle 1.

Tabelle 1: Berechnung des Zusatznutzens durch pU und IQWiG

	G-BA	pU		G-BA	
Subpopulationen	**ZVT**	**Zusatznutzen**	**Ergebnissicherheit**	**Zusatznutzen**	**Ergebnissicherheit**
-	-	-	-	-	-

Unsere Anmerkungen sind:

- Bei etwa 90 % der Pat. mit Indikation zur allogenen Stammzelltransplantation kann in Deutschland über nationale und internationale Register ein geeigneter, 10/10 oder 9/10 HLA-kompatibler Fremdspender identifiziert werden. Für Pat. ohne optimal passenden Fremdspender stehen alternative Donoroptionen wie die Transplantation vom HLA-mismatch unverwandten Spendern, haploidentischen Familienspendern oder Nabelschnurblut zur Verfügung.
- CD34 positive, hämatopoetische Stammzellen aus Nabelschnurblut sind eine Option bei Pat., für die keine Stammzellspende identifiziert wird. Zemcelpro® wird für Patienten-individuell hergestellt. Es enthält zwei Arten von Stammzellen aus gespendetem Nabelschnurblut:
  - Dorocubicel: expandierte CD34+-Zellen zur Wiederherstellung der Hämatopoese
  - nicht expandierte CD34-Zellen, die CD3+ T-Zellen zur Wiederherstellung der Immunfunktion enthalten.
- Die Zulassung beruht auf der Analyse von 25 Pat. mit Hochrisiko-Leukämie oder Myelodysplastischem Syndrom. Hier führte die Gabe von Zemcelpro® zu einem Engraftment von Neutrophilen bei 84% der Pat. innerhalb von 42 Tagen, und zu einem Engraftment von Thrombozyten bei 68% der Pat. innerhalb von 100 Tagen.
- Publizierte Daten umfassen Erfahrungen bei 60 Pat. Sie bestätigen die Daten aus dem European Public Assessment Report der EMA.

Der pharmazeutische Unternehmer verzichtet auf die Einreichung eines aussagekräftigen Dossiers. Der Hintergrund ist unklar. Eine formale Stellungnahme zu Dossier und HTA-Bericht ist nicht möglich.

Zemcelpro® ist eine neue Option bei Pat. mit Indikation zur allogenen Stammzelltransplantation, bei denen kein geeigneter Stammzellspender identifiziert werden kann. Der Zusatznutzen ist mangels vergleichender Daten nicht quantifizierbar.

2. Einleitung

Die allogene Stammzelltransplantation besitzt für viele schwere, maligne und nicht-malígne hämatologische Erkrankungen ein hohes kuratives Potenzial. Ein kritisches Element der Stammzelltransplantation ist die Auswahl geeigneter Spender. Die aktuellen Empfehlungen der DAG-HSZT, Deutsche Arbeitsgemeinschaft für Hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelluläre Therapie, und der DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie enthalten einen hierarchischen Algorithmus für die Spenderauswahl [1].

Bei etwa 90 % der Pat. mit Indikation zur allogenen Stammzelltransplantation kann in Deutschland über nationale und internationale Register ein geeigneter, weitgehend HLA-kompatibler Fremdspender identifiziert werden (10/10 oder 9/10 HLA-Übereinstimmung). Für Pat. ohne passenden Fremdspender stehen oft alternative Donoroptionen wie die Transplantation von weniger gut passenden unverwandten Spendern (8/10 HLA-Übereinstimmung), haploidentischen Familienspendern oder seltener Nabelschnurblut zur Verfügung. In Einzelfällen kann es sein, dass zwar ein geeigneter Spender identifiziert, dieser aber nicht innerhalb der notwendigen Zeitintervalle erreicht werden oder spenden kann. Mit all diesen Spendeoptionen ist die Situation „kein verfügbarerer Stammzellspender“ extrem selten geworden. Dennoch besteht vor allem für Pat, die ethnischen Minderheiten angehören, ein Risiko, dass nicht rechtzeitig ein geeigneter Spender verfügbar ist.

3. Stand des Wissens

Nabelschnurblut ist eine alternative Stammzellquelle. Intrinsische Herausforderungen resultieren aus der relativ niedrigen Zahl verfügbarer CD34+ Stammzellen in den Präparaten. Dies führte zu prolongierten Zytopenien, erhöhtem Risiko für schwere Infektionen, längeren Krankenhausaufenthalten und einer höheren Non-Relapse-Mortalität im Vergleich zu anderen Stammzellquellen.

Zemcelpro® ist eine Modifikation der allogenen Zelltherapie aus Nabelschnurblut. Das Präparat besteht aus zwei Komponenten, die aus einer einzigen, HLA-kompatiblen Nabelschnurbluteinheit (Cord Blood Unit, CBU) hergestellt werden:

- expandierte Komponente (INN: Dorocubicel): sie enthält CD34+ hämatopoetische Stamm- und Vorläuferzellen, die ex vivo in Gegenwart von UM171, einem proprietären niedermolekularen Wirkstoff, expandiert werden,
- nicht expandierte CD34- Komponente: sie enthält vor allem CD3+ T-Zellen zur Wiederherstellung der Immunfunktion.

Aktuelle Daten aus klinischen Studien mit Zemcelpro® sind in Tabelle 2 zusammengefasst.

Tabelle 2: Systemische Therapie mit Zemcelpro®

Studie	Pat.	Kontrolle	Neue Therapie	N[1]	Neutrophile Granulozyten[2]		Thrombozyten[3]		cGvHD[4]
					Median	Rate	Median	Rate	Rate
EPAR [2]	AML, ALL, MDS	-	Zencelpro®	25	20 Tage	84%	40 Tage	68%	16,0%
Cohen et al. [3]	AML, MDS	-	Zencelpro®	64	17 Tage	92%	38 Tage	88%	15,2%

[1] N - Anzahl Pat.; [2] Neutrophile Granulozyten: Median bis zur Regeneration in Tagen, Rate von Pat. mit Regeneration, in

%; [3] Thrombozyten: Median bis zur Regeneration in Tagen, Rate von Pat. mit Regeneration, in %; [4] cGvHD – chronische Graft versus Host Disease, Rate in %;

Zemcelpro® wurde im August 2025 für die EU zugelassen. Eine FDA-Zulassung liegt nicht vor.

4. Dossier und Bewertung von Belumosudil

Ein Dossier wurde nicht vorgelegt.

5. Kombinationstherapie

Zemcelpro® wird nicht in Kombination mit anderen ‚neuen' Arzneimitteln eingesetzt.

6. Diskussion

Bei Pat. mit hämatologischen Neoplasien und Indikation zur allogenen Stammzelltransplantation besteht ein ungedeckter, aber seltener (1-2% der Pat. mit Indikation zur allogenen SZT), medizinischer Bedarf, da nicht für alle Pat. ein geeigneter Stammzellspender zur Verfügung steht.

Zemcelpro® könnte diese Lücke schließen. Bisherige Daten aus Phase I/II-Studien zeigen Wirksamkeit in Bezug auf die Regeneration der Hämatopoese ohne Hinweise auf eine Steigerung der Transplant-related-Mortality. Die Datenbasis ist mit einer Gesamtzahl von 89 Pat. ist aber noch sehr begrenzt.

Eine Quantifizierung des Zusatznutzens im Sinne des AMNOG-Prozesses ist leider aufgrund des Fehlens vergleichender Daten nicht möglich.

Die Weigerung des pharmazeutischen Unternehmers zur Erstellung eines aussagekräftigen Dossiers mit transparenter Darstellung aller verfügbaren Daten trägt nicht zur Vertrauensbildung bei.

7. Literatur

1. Spenderauswahl — Onkopedia
2. Zemcelpro | European Medicines Agency (EMA)
3. Cohen S, Tomellini E, Bambace N et al.: UM171-Expanded Cord Blood Transplantation in Adults with High- and Very High-Risk Acute Leukemia and Myelodysplastic Syndrome: Combined Results of Two Prospective Phase II Trials. medRxiv, Aug 27, 2026. https://doi.org/10.64898/2026.08.21.26360802

Stellungnehmer

Die Stellungnahme wurde von Prof. Dr. Bernhard Wörmann in Kooperation mit Prof. Dr. Francis Ayuketank Ayuk, Universitätsklinikum Hamburg, Klinik für Stammzelltransplantation, Hamburg), Prof. Dr. med. Wolfgang Bethge (Universitätsklinikum Tübingen, Medizinische Universitätsklinik II, Hämatologie und Onkologie, Tübingen), PD Dr. Gesine Bug (Universitätsklinikum Frankfurt Medizinische Klink II, Abteilung Hämatologie / Onkologie, Frankfurt), Prof. Dr. med. Guido Kobbe (Universitätsklinikum Düsseldorf, Allogene Stammzelltransplantation, Klinik für Hämatologie, Onkologie und Klinische Immunologie, Düsseldorf), Prof. Dr. Roland Meisel (Universitätsklinikum Düsseldorf, Klinik für Kinder-Onkologie, Hämatologie und Klinische Immunologie, Pädiatrische Stammzelltherapie, Düsseldorf) und Prof. Dr. Matthias Stelljes (Universitätsklinikum Münster, Medizinische Klinik und Poliklinik A, Hämatologie und Onkologie, Münster) erarbeitet.