Gesellschaft für Thrombose- und
Hämostaseforschung e.V.
GTH-Geschäftsstelle, Haus der Verbände
Gertrudenstr. 9, 50667 Köln
Tel. 0221 423346-26
Fax 0221 423346-20
mail@gth-online.org

Hauptstadtbüro der DGHO
Bauhofstraße 12, 10117 Berlin
Tel. 030.27 87 60 89 - 0
Fax: 030.27 87 60 89 - 18
info@dgho.de

Gemeinsamer Bundesausschuss

Gutenbergstraße 13

10623 Berlin

22. September 2026

Gemeinsame Stellungnahme
der GTH Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung und
der DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie
zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V

Marstacimab

(Blutungsprophylaxe bei Hämophilie A und Nachweis von Hemmkörpern)

veröffentlicht am 1. September 2026
Vorgangsnummer 2026-06-01-D-1333
IQWiG Bericht Nr. 2316

1. Zusammenfassung

2. Literatur

1. Zusammenfassung

Diese frühe Nutzenbewertung von Marstacimab (Hympavzi®) ist ein weiteres Verfahren bei der angeborenen Hämophilie. Marstacimab ist zugelassen zur Routineprophylaxe von Blutungsepisoden bei Patientinnen und Patienten (Pat.) mit angeborener Hämophilie A (Faktor-VIII-Mangel) und Faktor-VIII-Inhibitoren ab 12 Jahren sowie einem Körpergewicht von mindestens 35 kg. Der G-BA hat das IQWiG mit dem Bericht beauftragt. Indikationen, zweckmäßige Vergleichstherapie, Vorschläge vom pharmazeutischen Unternehmer und IQWiG zur Festlegung des Zusatznutzens sind in Tabelle 1 zusammengefasst.

Tabelle 1: Vorschläge zum Zusatznutzen von Marstacimab

Subgruppen	ZVT	pU		IQWiG	
		Zusatznutzen	Ergebnissicherheit	Zusatznutzen	Ergebnissicherheit
keine	Emicizumab	nicht belegt	-	nicht belegt	-

Legende: pU – pharmazeutischer Unternehmer, ZVT – zweckmäßige Vergleichstherapie

Unsere Anmerkungen sind:

- Standard in der Blutungsprophylaxe von Patienten mit schwerer Hämophilie A und Hemmkörpern ist Emicizumab. Dieser Standard wurde aktuell durch die Zulassung von Concizumab erweitert [1].
- Grundlage der frühen Nutzenbewertung von Marstacimab in der Blutungsprophylaxe ist die Studie BASIS [2]. Die Studie nahm männliche Patienten mit Hämophilie A oder B auf, jeweils mit Nachweis von Hemmkörpern. Das Design umfasste eine Beobachtungsphase von 12 Monaten, anschließend eine aktive Behandlungsphase über 12 Monate. Marstacimab wurde einmal wöchentlich subkutan appliziert.
- Bei 40 Pat. mit Hämophilie A führte Marstacimab zur signifikanten Senkung der Annual Bleeding Rate (ABR) mit einem Quotienten von 0,05.
- Die prophylaktische Therapie mit Marstacimab führte zu einer signifikanten Verbesserung der Lebensqualität.
- Im Vordergrund der unerwünschten Ereignisse standen COVID-19 Infektionen, Infektionen der oberen Luftwege und ein Anstieg der Fibrin D-Dimere. Thrombembolische Komplikationen traten nicht auf.

Marstacimab beruht auf einem neuen Wirkprinzip. Es ist ein hochwirksames Arzneimittel zur Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A und Nachweis von Hemmkörpern. Aufgrund des Fehlens direkt vergleichender Daten gegenüber Emicizumab oder Concizumab ist der Zusatznutzen nicht quantifizierbar.

Der pharmazeutische Unternehmer verzichtet auf die Einreichung eines aussagekräftigen Dossiers.

2. Literatur

1. Klamroth R et al.: Hämophilie; Onkopedia Leitlinie, März 2026. Hämophilie — Onkopedia
2. Matino D, Acharya SS, Taylor CT et al.: Efficacy and safety of marstacimab prophylaxis in hemophilia A/B with inhibitors: results from the phase 3 BASIS trial. Blood 147:920-931, 2026. DOI: 10.1182/blood.2025031065

Stellungnehmer

Diese Stellungnahme wurde von Prof. Dr. Bernhard Wörmann (Charité Campus Virchow, Medizinische Klinik mit Schwerpunkt Hämatologie, Onkologie und Tumorimmunologie; DGHO Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie Berlin) in Kooperation mit PD Dr. Robert Klamroth (Vivantes Klinikum am Friedrichshain, Klinik für Innere Medizin, Angiologie, Hämostaseologie und Pneumologie, Berlin), Prof. Dr. ohannes Oldenburg (Institut für Experimentelle Hämatologie und Transfusionsmedizin, Universitätsklinikum Bonn) und Prof. Dr. Andreas Tiede (MHH, Klinik für Hämatologie, Hämostaseologie, Onkologie und Stammzelltransplantation, Hannover) erarbeitet.