

DGHO e.V. • Bauhofstraße 12 • 10117 Berlin

Gemeinsamer Bundesausschuss

Gutenbergstraße 13

10587 Berlin

5. Februar 2026

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

Nirogacestat

**veröffentlicht am 15. Januar 2026
Vorgangsnummer 2025-10-15-D-1255
IQWiG Bericht Nr. 2172**

1. Zusammenfassung
2. Einleitung
3. Stand des Wissens
4. Dossier und Bewertung von Nirogacestat (Ogsiveo®)
 4. 1. Zweckmäßige Vergleichstherapie
 4. 2. Studien
 4. 3. Endpunkte
 4. 3. 1. Überlebenszeit
 4. 3. 2. Morbidität
 4. 3. 2. 1. Progressionsfreies Überleben / Remissionsrate
 4. 3. 2. 2. Lebensqualität / Patient-Reported Outcome
 4. 3. 3. Nebenwirkungen
 4. 4. IQWiG Bericht
5. Klinische Bewertung des Nutzens
6. Kombinationstherapie
7. Diskussion
8. Literatur

1. Zusammenfassung

Dies ist die erste frühe Nutzenbewertung von Nirogacestat (Ogsiveo®). Nirogacestat ist zugelassen als Monotherapie für die Behandlung erwachsener Patientinnen und Patienten (Pat.) mit fortschreitenden Desmoidtumoren/fortschreitender Aggressiver Fibromatose (AF), die eine systemische Behandlung erfordern. Nirogacestat hat einen Orphan-Drug-Status. Der G-BA hat den Bericht selbst erstellt. Subgruppen, zweckmäßige Vergleichstherapie sowie Bewertungsvorschläge sind in Tabelle 1 zusammengefasst.

Tabelle 1: Vorschläge zum Zusatznutzen von Nirogacestat

Subgruppen	ZVT	pU		G-BA	
		Zusatznutzen	Ergebnissicherheit	Zusatznutzen	Ergebnissicherheit
-	-	erheblich	Hinweis	-	-

Legende: pU – pharmazeutischer Unternehmer, ZVT – zweckmäßige Vergleichstherapie

Unsere Anmerkungen sind:

- Eine zweckmäßige Vergleichstherapie wurde aufgrund des Orphan Drug Status nicht festgelegt.
- Basis der frühen Nutzenbewertung sind die Daten der randomisierten Studie Phase-III-Studie DeFi (NIR-DT-301) zum Vergleich des oralen γ -Sekretase-Inhibitors Nirogacestat versus Placebo. Das mediane Alter in der Studie lag bei 34 Jahren.
- In DeFi führte Nirogacestat gegenüber Placebo zur signifikanten Verlängerung des progressionsfreien Überlebens und zur signifikanten Verbesserung von Parametern der Lebensqualität.
- Die Rate schwerer unerwünschter Ereignisse lag bei 55% im Nirogacestat- vs 17% im Placebo-Arm. Früher Therapieabbruch aufgrund unerwünschter Ereignisse erfolgte bei 20% der Pat. im Nirogacestat- vs 1% im Kontrollarm.
- Der Bericht des G-BA ist deskriptiv. Er identifiziert positive Effekte bei Parametern der Symptomatik auf Basis des Patient-Reported-Outcome und bei Elementen der Lebensqualität, negative Effekte bei den unerwünschten Ereignissen.
- ESMO-MCBS v1.1 Nirogacestat: 3

Nirogacestat ist ein neuer Standard bei Pat. mit fortgeschrittenem Desmoidtumoren. Die Entscheidung über Sorafenib vs Nirogacestat wird sich vor allem am Nebenwirkungsprofil orientieren.

2. Einleitung

Desmoide/AF sind Weichgewebstumoren, die formal nicht zu den Sarkomen gehören. Desmoide/AF können spontan (extra- und intraabdominell) auftreten und finden sich gehäuft bei Patienten mit familiärer adenomatöser Polyposis (FAP) bzw. Gardner-Syndrom (*APC*-Genmutationen). In letztgenannten Situationen liegt meist eine intraabdominelle, mesenteriale Tumorlokalisation mit Ummauerung der Mesenterialgefäße vor. Sporadische AF weisen zumeist eine Mutation in den Kodons 35, 41 oder 45 des Exon 3 des β -Catenin-Gens (*CTNNB1*) auf, sind meist am Körperstamm oder im Bereich der Extremitäten lokalisiert und sind lokalen Verfahren leichter zugänglich. Sowohl das *CTNNB1*- als auch das *APC*-Gen sind Teile des Wnt-Signalwegs; *APC*- bzw. *CTNNB1*-Mutationen führen zur Stabilisierung von β -Catenin mit der Folge transkriptioneller Veränderungen, die an der Genese/Pathogenese von Desmoiden beteiligt sind.

3. Stand des Wissens

Bei asymptomatischen Pat. mit lokal begrenzter Manifestation ohne nachweisbare Progression ist eine abwartende Strategie (watch & wait) mit aktiver Überwachung die Therapie der Wahl [1-3]. Bei therapiebedürftigen Pat. sind mittlerweile medikamentöse Optionen die Therapie der Wahl bei diesen zu Lokalrezidiven neigenden, nach WHO intermediären Weichgewebstumoren. Operation und Strahlentherapie spielen eine untergeordnete Rolle.

Zur medikamentösen Therapie der lokal rezidierten, nicht resektablen oder nur mutilierend resektablen und nicht strahlentherapeutisch therapierbaren AF gab es nur wenige, wirksame Optionen. In Deutschland hatte sich die Situation im Sommer 2024 geändert. Arzneimittel mit dem Wirkstoff Sorafenib können ab sofort auch zur Behandlung von Erwachsenen mit fortgeschrittenen Desmoidtumoren, nachgewiesenem Krankheitsprogress und Behandlungsbedürftigkeit verordnet werden. Die positive Empfehlung der Off-Label-Expertenkommission und die Entscheidung des G-BA basierte vor allem auf einer Placebo-kontrollierten Phase III-Studie [5]. Durch die Therapie mit Sorafenib wurde bei Patienten mit einem chirurgisch nicht resezierbaren Desmoid, einem Größenwachstum von mindestens 10% nach RECIST innerhalb von 6 Monaten oder klinischen Beschwerden wurde das mediane PFS signifikant verlängert (HR 0,13; $p < 0,0001$).

Eine medikamentöse Alternative aus derselben Substanzklasse ist Pazopanib. Daten aus einer randomisierten Phase II-Studie (DESMOPAZ) verglich Pazopanib mit einer Chemotherapie aus Methotrexat plus Vinblastin bei progredienten Desmoid-Patienten (NCT01876082). Die „stable disease“ Rate nach 6 Monaten als primärer Endpunkt der Studie lag im Pazopanib-Arm bei 86 % und im Chemotherapie Arm bei 50 %. Pazopanib zeigt damit bedeutsame klinische Aktivität nach RECIST progredienten Desmoid Patienten und demonstriert Überlegenheit gegenüber einer chemotherapeutischen Behandlung mit MTX plus Vinblastin [6]. Pazopanib ist in dieser Indikation nicht zugelassen.

Als weiterer Tyrosinkinase-Inhibitor wurde Imatinib getestet. Mit Imatinib wurden im Fall lokal progredienter/rezidiervter AF bei teilweise ausgiebig vorbehandelten Pat. prospektiv Remissionsraten von 10-15% und 12-Monats-Progressionsarrestaten von 37-66% beschrieben [7-9]. Auch Imatinib ist in dieser Indikation nicht zugelassen.

Vor der Verfügbarkeit der Multikinase-Inhibitoren wurden sehr unterschiedliche Therapieansätze verfolgt. Hierzu zählt u. a. die antihormonelle Therapien mit hochdosiertem Tamoxifen [9]. Allerdings gilt sowohl für antihormonelle Maßnahmen als auch für nichtsteroidale Antiphlogistika (NSAID), dass die optimalen Dosierungen unbekannt sind und nur wenige Fallserien mit kleinen Patientenzahlen und heterogenen Patientenkollektiven (sporadische AF, FAP-assoziierte AF, Primär- oder Rezidivtherapie) existieren, so dass diese Therapien gemäß Guidelines nicht mehr empfohlen werden.

Bei aggressiveren Verläufen, bei symptomatischer oder gar lebensbedrohlicher Erkrankung kommt eine konventionelle Chemotherapie in Betracht [10-16]. Dabei scheinen anthrazyklinhaltige Regime entsprechend retrospektiven Daten die höchsten Ansprechraten aufzuweisen, gefolgt von Methotrexat und Vinka-Alkaloid-haltigen Regimen. Auch Vinorelbin weist eine Aktivität auf und kann Vinblastin ersetzen. Pegyliertes liposomales Doxorubicin führte in einer aktuell publizierten, randomisierten Studie zur signifikanten Verlängerung des progressionsfreien Überlebens [17].

Nirogacestat ist ein niedermolekularer, selektiver, reversibler, nicht-kompetitiver Inhibitor des Enzyms Gamma-Sekretase (GS). Es wurde initial für die Therapie Notch 1-positiver Tumoren entwickelt. Desmoidtumoren zeigen eine stark erhöhte Expression von Notch 1. Notch 1 ist ein membranständiger Rezeptor, der nach Bindung seines Liganden Delta proteolytisch gespalten wird. Dabei wird die intrazelluläre Domäne von Notch 1 (Notch intracellular domain, NICD) mithilfe der Gamma-Sekretase (GS) freigegeben und in den Zellkern transloziert. Dies führt zur Aktivierung der Transkription von Notch-Zielgenen wie HES1, MYC und CCND1.

Nirogacestat hemmt die GS, verhindert die Freisetzung der NICD und inhibiert damit das Wachstum von Desmoidtumoren. Nirogacestat wird oral in der Dosis von 2 x 150 täglich appliziert. Daten aus der Zulassungsstudie sind in Tabelle 2 zusammengefasst.

Tabelle 2: Therapie mit Nirogacestat bei Pat. mit fortgeschrittenen Desmoidtumoren / aggressiver Fibromatose (DT/AF)

Erstautor / Jahr	Risikogruppe	Kontrolle	Neue Therapie	N ¹	RR ²	PFÜ ⁴ (HR ³)	ÜLZ ⁵ (HR ³)
DeFi (NIR-DT-301) [18, 19], Dossier	fortgeschritten, progredient	Placebo	Nirogacestat	142	8 vs 41 ⁶ p = 0,0001	46 vs 77 0,29 ⁷ p < 0,001	n.e. vs n.e. ⁸ n. s. ⁹
Gounder et al., [5]	fortgeschritten, progredient	Placebo	Sorafenib	84	20 vs 33 p = 0,0001	36 vs 81 0,13 ⁷ p < 0,001	

¹ N - Anzahl Patientinnen; ² RR - Remissionsrate in %; ³ PFÜ - progressionsfreie Überlebenszeit oder TTP – Zeit bis zum Progress, in Monaten; ⁴ HR - Hazard Ratio; ⁵ ÜLZ - Gesamtüberlebenszeit, in Monaten; ⁶ Ergebnis für Kontrolle, Ergebnis für neue Therapie; ⁷ Hazard Ratio für neue Therapie; ⁸ n. e. – nicht erreicht; ⁹ n. s. – nicht signifikant;

Nirogacestat wurde im Oktober 2023 von der FDA, und im August 2025 für die EU zugelassen.

4. Dossier und Bewertung von Nirogacestat

4. 1. Zweckmäßige Vergleichstherapie (ZVT)

Aufgrund des Orphan-Drug-Status hat der G-BA keine zweckmäßige Vergleichstherapie festgelegt. Im deutschen Versorgungskontext ist Sorafenib als Vergleichstherapie geeignet.

4. 2. Studien

Grundlage der erneuten Nutzenbewertung ist die randomisierte, internationale Phase-III-Studie DeFi, in die Pat. mit fortgeschrittener Erkrankung und nachgewiesenem Progress eingeschlossen wurden. Deutsche Zentren waren an der Studie beteiligt.

Datenschnitt war der 7. April 2022.

Die Daten wurden in Peer-Review-Journals publiziert [18, 19].

4. 3. Endpunkte

4. 3. 1. Überlebenszeit

Die Gesamtüberlebenszeit war kein formaler Endpunkt von DeFi. Todesfälle wurden im Rahmen der Arzneimittelsicherheit erfasst.

In DeFi war bis zum Datenschnitt ein Pat. im Placebo-Arm verstorben.

4. 3. 2. Morbidität

4. 3. 2. 1. Progressionsfreies Überleben / Remissionsrate

Das progressionsfreie Überleben war primärer Endpunkt von DeFi. Er wurde radiologisch erfasst. Hier führte Nirogacestat zu einer statistisch signifikanten Verlängerung (HR 0,42; $p < 0,001$).

Die Ansprechrate wurde von 8% im Kontrollarm auf 41% im Nirogacestat-Arm gesteigert. In einer späteren Analyse zeigte sich ein weiterer Anstieg der Ansprechrate auf 45,7% [19].

4. 3. 2. 2. Lebensqualität / Patient-Reported Outcome

Lebensqualität und Patient-Reported-Outcome wurden in DeFi mittels der validierten Fragebögen E-ORTC QLQ-C30, PGIS, PGIC, GODDESS DTIS und die Brief Pain Inventory-Short Form (BPI-SF) erhoben. Hier zeigten sich Ergebnisse zugunsten von Nirogacestat für die Zeit bis zur Verbesserung um $\geq 15\%$ für den Gesamtscore als auch für die Subscores der Symptome, für Schmerz und für extra-abdominale Symptome.

4. 3. 3. Nebenwirkungen

Die Raten schwerer unerwünschter Ereignisse lagen in DeFi numerisch etwa gleich hoch in den beiden Studienarmen. Eine Übersicht gibt Tabelle 3 mit Daten aus der Primärpublikation.

Tabelle 3: Unerwünschte Ereignisse [18]

Table 2. Adverse Events in the Safety Population.*

Category	Nirogacestat (N = 69)	Placebo (N = 72)
Adverse event, any grade — no. (%)	69 (100)	69 (96)
Advert event, grade ≥ 3 — no. (%)	38 (55)	12 (17)
Adverse event leading to early discontinuation of nirogacestat or placebo, any grade — no. (%)	14 (20)	1 (1)
Adverse event leading to death — no. (%)	0	1 (1)†
Adverse events reported in $\geq 15\%$ of patients in either group, any grade — no. (%)		
Diarrhea	58 (84)	25 (35)
Nausea	37 (54)	28 (39)
Fatigue	35 (51)	26 (36)
Hypophosphatemia	29 (42)	5 (7)
Maculopapular rash	22 (32)	4 (6)
Stomatitis	20 (29)	3 (4)
Headache	20 (29)	11 (15)
Dermatitis acneiform	15 (22)	0
Vomiting	14 (20)	14 (19)
Rash	13 (19)	5 (7)
Hot flush	13 (19)	4 (6)
Alopecia	13 (19)	1 (1)
Alanine aminotransferase level increased	12 (17)	6 (8)
Covid-19	12 (17)	12 (17)
Weight gain	11 (16)	5 (7)
Cough	11 (16)	3 (4)
Abdominal pain	11 (16)	9 (12)
Aspartate aminotransferase level increased	11 (16)	8 (11)
Dyspnea	11 (16)	4 (6)
Decreased appetite	11 (16)	8 (11)
Dry skin	11 (16)	5 (7)
Tumor pain	5 (7)	13 (18)
Ovarian dysfunction‡		
In the safety population — no. (%)	27 (39)	0
In women of childbearing potential in the safety population — no./total no. (%)	27/36 (75)	0/37

* Shown are adverse events that emerged or worsened from the time of the first dose of nirogacestat or placebo through 30 days after the last dose. Covid-19 denotes coronavirus disease 2019.

† The patient died from sepsis.

‡ Ovarian dysfunction includes the *Medical Dictionary for Regulatory Activities*, version 24.0, preferred terms amenorrhea, premature menopause, menopause, and ovarian failure.

Die Rate schwerer unerwünschter Ereignisse lag bei 55% im Nirogacestat- vs 17% im Placebo-Arm. Bei mehr als 20% der Pat. traten Diarrhoe, Übelkeit, Fatigue, Hypophosphatämie, Exanthem, Stomatitis, akneiforme Dermatitis und Erbrechen auf. Bei 3 Patientinnen trat eine vorzeitige Menopause ein. Die

Rate früher Therapieabbrüche aufgrund unerwünschter Ereignisse lag bei 20% im Nirogacestat- vs 1% im % im Kontrollarm.

4. 4. Bericht des G-BA

Der Bericht des G-BA ist deskriptiv. Er identifiziert positive Effekte bei Parametern der Symptomatik auf Basis des Patient-Reported-Outcome und bei Elementen der Lebensqualität, negative Effekte bei den unerwünschten Ereignissen.

5. Klinische Bewertung des Nutzens

Wissenschaftliche medizinische Fachgesellschaften haben in den letzten Jahren validierte Instrumente für eine Bewertung des klinischen Nutzens neuer Arzneimittel unter Patienten-orientierten Gesichtspunkten entwickelt. In Kooperation mit der European Society for Medical Oncology (ESMO) ergänzen wir unsere Stellungnahme mit der Bewertung von Nirogacestat anhand der ESMO-Magnitude of Clinical Benefit Scale (ESMO-MCBS) Version 1.1. Diese sieht bei Arzneimitteln für die nicht-kurative Therapie eine Einteilung von 1 (niedrig) bis 5 (hoch) vor [10].

ESMO-MCBS v1.1	Nirogacestat:	3
----------------	---------------	---

6. Kombinationstherapie

Nirogacestat wird nicht in Kombination mit „neuen“ Arzneimitteln eingesetzt.

7. Diskussion

Die Zulassung von Nirogacestat füllt eine therapeutische Lücke. Die orale Therapie führt zur signifikanten Verlängerung des radiologischen progressionsfreien Überlebens und zur signifikanten Linderung von Symptomen sowie zur Verbesserung von Parametern der Lebensqualität. Im Kontext dieser frühen Nutzenbewertung ist zu diskutieren:

Endpunkte

Der Endpunkt progressionsfreies Überleben ist angemessen, da er eine objektive Erfassung der Wirkung von Nirogacestat erlaubt. Damit ist der kausale Endpunkt zwischen Intervention und Symptomatik gesichert.

Aus übergeordneter Sicht sind hier die Kriterien des PFÜ plus erfüllt, d. h. die Kombination der Verlängerung des bildgebend erfassten PFÜ und der Linderung unterschiedlicher Symptome.

Das Gesamtüberleben ist bei diesem Krankheitsbild mit langsamem klinischen Verlauf und einem Patientenkollektiv mit einem Altersmedian von 34 Jahren kein geeigneter Endpunkt.

Zweckmäßige Vergleichstherapie (ZVT)

Nach der randomisierten Studie zur Wirksamkeit von Sorafenib und der Aufnahme dieses Wirkstoffs im Jahr 2024 in die Arzneimittelrichtlinie Anlage A ist Sorafenib die geeignete ZVT.

Sicherheit

Im indirekten Vergleich erscheint das Nebenwirkungsprofil günstig gegenüber zu Sorafenib. Sorafenib ist mit stärkeren und vor allem stärker belastenden Nebenwirkungen assoziiert, z. B. schwere kutane Reaktionen.

Das Risiko der frühzeitigen Menopause muss mit den Patientinnen vor Therapie besprochen und ggf. mittels Kryokonservierung von Eizellen gemanagt werden. Der Einfluss von Nirogacestat auf die Spermiogenese scheint unklar.

Nirogacestat ist der neue Standard bei Pat. mit fortgeschrittenem Desmoidtumoren, auf der Basis der Qualität der Studiendaten hinsichtlich Lebensqualität und Verträglichkeit. Die Entscheidung über die Differentialtherapie wird sich vor allem an Alter, Geschlecht und Abwägung von Nebenwirkungen orientieren.

8. Literatur

1. Weichgewebssarkome (maligne Weichgewebstumoren) des Erwachsenen. Onkopedia, April 2019. <https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines/weichgewebssarkome-maligne-weichgewebstumoren-des-erwachsenen/@@guideline/html/index.html>
2. Desmoid Tumor Working Group: The management of desmoid tumours: A joint global consensus-based guideline approach for adult and paediatric patients. Eur J Cancer 127:96-107, 2020. DOI: [10.1016/j.ejca.2019.11.013](https://doi.org/10.1016/j.ejca.2019.11.013)
3. Kasper B, Baumgarten C, Garcia J, et al. on behalf of the Desmoid Tumor Working Group. An update on the management of sporadic desmoid-type fibromatosis: a European consensus initiative between Sarcoma Patients EuroNet (SPAEN) and European Organisation for Research and Treatment of Cancer (EORTC) / Soft Tissue and Bone Sarcoma Group (STBSG). Ann Oncol 28: 2399-2408, 2017. DOI: [10.1093/annonc/mdx323](https://doi.org/10.1093/annonc/mdx323)
4. Kasper B, Baldini EH, Bonvalot S et al. on behalf of the Desmoid Tumor Working Group. Current Management of Desmoid Tumors: A Review. JAMA Oncol 10:1121-1128, 2024. DOI: [10.1001/jamaoncol.2024.1805](https://doi.org/10.1001/jamaoncol.2024.1805)
5. Gounder MM, Mahoney MR, Van Tine BA, et al.: Sorafenib for Advanced and Refractory Desmoid Tumors. N Engl J Med 379:2417-2428, 2018. DOI: [10.1056/NEJMoa1805052](https://doi.org/10.1056/NEJMoa1805052)
6. Toulmonde M, Pulido M, Ray-Coquard IL et al.: Pazopanib or methotrexate-vinblastine combination chemotherapy in adult patients with progressive desmoid tumours (DESMOPAZ): a non-comparative, randomised, open-label, multicentre, phase 2 study. Lancet Oncol 20:1263-1272, 2019. DOI: [10.1016/S1470-2045\(19\)30276-1](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(19)30276-1)
7. Mace J, Sybil Biermann J, Sondak V, et al.: Response of extraabdominal desmoid tumors to therapy with imatinib mesylate. Cancer 95:2373-2379, 2002. PMID:12436445
8. Heinrich MC, McArthur GA, Demetri GD, et al.: Clinical and molecular studies of the effect of imatinib on advanced aggressive fibromatosis (desmoid tumor). J Clin Oncol 24:1195-1203, 2006. DOI:10.1200/JCO.2005.04.0717
9. Penel N, LeCesne A, Bui BN et al.: Imatinib for progressive and recurrent aggressive fibromatosis (desmoid tumors): an FNCLCC/French Sarcoma Group phase II trial with a long-term follow-up. Ann Oncol 22:452-457, 2011. DOI:10.1093/annonc/mdq341
10. Azzarelli A, Gronchi A, Bertulli R, et al.: Low-dose chemotherapy with methotrexate and vinblastine for patients with advanced aggressive fibromatosis. Cancer 92:1259-1264, 2001. PMID:11571741

11. Constantinidou A, Jones RL, Scurr M, Al-Muderis O, Judson I. Pegylated liposomal doxorubicin, an effective, well-tolerated treatment for refractory aggressive fibromatosis. Eur J Cancer 45:2930-2934, 2009. [DOI:10.1016/j.ejca.2009.08.016](https://doi.org/10.1016/j.ejca.2009.08.016)
12. Garbay D, Le Cesne A, Penel N et al.: Chemotherapy in patients with desmoid tumors: a study from the French Sarcoma Group (FSG). Ann Oncol 23:182-186, 2012. [DOI:10.1093/annonc/mdr051](https://doi.org/10.1093/annonc/mdr051)
13. Gega M, Yanagi H, Yoshikawa R, et al.: Successful chemotherapeutic modality of doxorubicin plus dacarbazine for the treatment of desmoid tumors in association with familial adenomatous polyposis. J Clin Oncol 24:102-105, 2006. [DOI:10.1200/JCO.2005.02.1923](https://doi.org/10.1200/JCO.2005.02.1923)
14. Mir O, Rahal C, Rimareix F et al.: Efficacy of oral vinorelbine in advanced/progressive desmoid tumours: An updated retrospective study in 50 patients. ASCO Annual Meeting, J Clin Oncol 34 (suppl; abstr 11050), 2016. <http://meetinglibrary.asco.org/record/123140/abstract>
15. Pang A, Macedo DVG, Carhini M, Maki RG: Pegylated liposomal doxorubicin (PLD) as an active treatment option for desmoid tumor (DT) patients. ASCO Annual Meeting, J Clin Oncol 34(suppl; abstr 11032), 2016. <http://meetinglibrary.asco.org/record/123158/abstract>
16. Skapek SX, Hawk BJ, Hoffer FA et al.: Combination chemotherapy using vinblastine and methotrexate for the treatment of progressive desmoid tumor in children. J Clin Oncol 16:3021-3027, 1998. [PMID:9738571](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/9738571/)
17. Hu H, Hu J, Zhang Y et al.: Phase 3 Trial of Pegylated Liposomal Doxorubicin for Patients with Advanced and Refractory Desmoid Tumors. Clin Cancer Res Jan 8, 2026. DOI: [10.1158/1078-0432.CCR-25-3128](https://doi.org/10.1158/1078-0432.CCR-25-3128)
18. Gounder M, Ratan R, Alcindor T et al. (2023): Nirogacestat, a γ -Secretase Inhibitor for Desmoid Tumors. N Engl J Med 388, 898-912, 2023. DOI: 10.1056/NEJMoa2210140
19. Ratan R, Kasper B, Alcindor T et al.: Efficacy and Safety of Long-Term Continuous Nirogacestat Treatment in Adults With Desmoid Tumors: Results From the DeFi Trial. J Clin Oncol 43:3646-3651, 2025. DOI: [10.1200/JCO-25-00582](https://doi.org/10.1200/JCO-25-00582)
20. [ESMO-MCBS Scorecards | ESMO](#)

Stellungnehmer

Diese Stellungnahme wurde von Prof. Dr. Bernhard Wörmann in Kooperation mit Prof. Dr. Sebastian Bauer (Universitätsklinikum Essen, Westdeutsches Tumorzentrum, Innere Klinik (Tumorforschung, Essen), Prof. Dr. Bernd Kasper (Universitätsmedizin Mannheim, Interdisziplinäres Tumorzentrum, Mannheim), Prof. Dr. Lars Lindner (Universität München Campus Großhadern, Medizinische Klinik und Poliklinik III, München) und PD Dr. Peter Reichardt (Helios-Klinikum Berlin-Buch, Klinik für Interdisziplinäre Onkologie, Berlin) erarbeitet.