

EMA: Zulassung erfolgt für

- **Crovalimab** (Piasiky, Roche) bei paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (s. Notizen Nr. 08/24)
- **Erdafitinib** (Balversa, Janssen-Cilag) bei nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom (s. Notizen Nr. 08/24)
- **Odronexamab** (Orspono, Regeneron) bei rezidiviertem oder refraktärem follikulärem Lymphom (r/r FL) sowie bei rezidiviertem oder refraktärem diffus großzelligem B-Zell-Lymphom (r/rDLBCL) (s. Notizen Nr. 08/24)
- **Sotatercept** (Winrevair, MSD) bei pulmonaler arterieller Hypertonie (PAH) (s. Notizen Nr. 08/24)

CHMP-Meeting-Highlights im September 2024

Zulassungsempfehlung für Impfstoff gegen Meningokokken Gruppe A, B, C, W, Y (Penbraya, Pfizer): Der Impfstoff soll indiziert sein zur aktiven Immunisierung von Personen ab 10 Jahren zur Vorbeugung invasiver Erkrankungen durch *Neisseria meningitidis* der Gruppen A, B, C, W und Y.
Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungsempfehlung für Lutetium-(177Lu)chlorid (Theralugand, Eckert & Ziegler Radiopharma): Der sogenannte radiopharmazeutische Vorläufer ist nicht zur aktiven Anwendung am Patienten vorgesehen, sondern soll ausschließlich zur radioaktiven Markierung von Trägermolekülen bestimmt sein, die speziell für die radioaktive Markierung mit Lutetium-(¹⁷⁷Lu)-Chlorid entwickelt und zugelassen wurden.
Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungsempfehlung für Marstacimab (Hympavzi, Pfizer): Das Antihämorrhagikum soll indiziert sein zur routinemäßigen Prophylaxe von Blutungsereignissen bei Patienten ab zwölf Jahren mit einem Gewicht von mindestens 35 kg mit:

- schwerer Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel, FVIII < 1 %) ohne Faktor-VIII-Hemmkörper oder
- schwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel, FIX < 1 %) ohne Faktor-IX-Hemmer.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungsempfehlung für Mirvetuximab Soravtansin (Elahere, AbbVie): Das Antikörper-Wirkstoff-Konjugat soll indiziert sein als Monotherapie zur Behandlung von Erwachsenen mit Folatrezeptor-alpha(FRα)-positivem, Platin-resistentem hochgradigem serösem epitheliale Ovarial-, Eileiter- oder primärem Peritonealkarzinom, die zuvor ein bis drei systemische Therapien erhalten haben.
Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungsempfehlung für Serplulimab (Hetronifly, Henlius Europe): Der anti-neoplastische monoklonale Antikörper soll indiziert sein in Kombination mit Carboplatin und Etoposid zur Erstlinienbehandlung erwachsener Patienten mit kleinzelligem Lungenkrebs im fortgeschrittenen Stadium (ES-SCLC).
Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Benralizumab (Fasenra, AstraZeneca) *empfohlen*: Der monoklonale Antikörper soll zukünftig auch indiziert sein als Zusatzbehandlung für Erwachsene mit rezidivierender oder refraktärer eosinophiler Granulomatose mit Polyangiitis. Bisher wird Benralizumab als Erhaltungstherapie bei erwachsenen Patienten mit schwerem eosinophilem Asthma angewendet.
Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Ceftazidim/Avibactam (Zavicefta, Pfizer) *empfohlen*: Die fixe Antibiotika-Kombination soll zukünftig bei Erwachsenen und Kindern ab Geburt zur Behandlung der folgenden Infektionen indiziert sein:

- Komplizierte intraabdominale Infektion (cIAI)
- Komplizierte Harnwegsinfektion (cUTI), einschließlich Pyelonephritis

In dieser Rubrik werden wichtige aktuelle Meldungen nationaler und internationaler Arzneimittelbehörden zusammengefasst, die bis Redaktionsschluss vorliegen. Berücksichtigt werden Meldungen folgender Institutionen:

EMA www.ema.europa.eu

Die European Medicines Agency (EMA) ist für die zentrale Zulassung und Risikobewertung von Arzneimitteln in Europa zuständig. Die vorbereitende wissenschaftliche Evaluation erfolgt für Humanarzneimittel durch das CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use), bei Arzneimitteln für seltene Erkrankungen durch das COMP (Committee for Orphan Medicinal Products). Das PRAC (Pharmacovigilance Risk Assessment Committee) ist für die Risikobewertung von Arzneimitteln, die in mehr als einem Mitgliedsstaat zugelassen sind, zuständig.

FDA www.fda.gov

Die US Food & Drug Administration (FDA) ist die US-amerikanische Arzneimittelzulassungsbehörde.

BfArM www.bfarm.de

Das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) ist eine selbstständige Bundesoberbehörde im Geschäftsbereich des Bundesministeriums für Gesundheit und u. a. zuständig für Zulassung und Pharmakovigilanz in Deutschland.

AkdÄ www.akdae.de

Die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ) bietet unter anderem unabhängige aktuelle neue Risikoinformationen zu Arzneimitteln (z. B. Risikobekanntgaben, Rote-Hand-Briefe).

IQWiG www.iqwig.de

G-BA www.g-ba.de

Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) erstellt Gutachten, auf deren Basis der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Zusatznutzen eines Arzneimittels gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie gemäß Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) überprüft.

- Im Krankenhaus erworbene Lungenentzündung (HAP), einschließlich beatmungsassoziierter Lungenentzündung (VAP)

Bisher war die Anwendung bei Patienten ab einem Alter von drei Monaten zugelassen.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Daratumumab (Darzalex, Janssen-Cilag) *empfohlen*: Der monoklonale Antikörper soll zukünftig auch indiziert sein in Kombination mit Bortezomib, Lenalidomid und Dexamethason zur Behandlung erwachsener Patienten mit neu diagnostiziertem multiplem Myelom, die für eine autologe Stammzelltransplantation infrage kommen.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Dupilumab (Dupixent, Sanofi Winthrop) *empfohlen*: Der monoklonale Antikörper zur Behandlung der eosinophilen Ösophagitis soll zukünftig auch bei Kindern ab einem Jahr mit mindestens 15 kg Körpergewicht angewendet werden können. Bisher war die Anwendung bei Erwachsenen und Jugendlichen ab zwölf Jahren indiziert.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Empagliflozin/Metformin (Synjardy, Boehringer Ingelheim International) *empfohlen*: Die Kombination der beiden Antidiabetika soll zukünftig auch bei Kindern ab zehn Jahren indiziert sein zur Behandlung von Typ-2-Diabetes als Ergänzung zu Diät und Bewegung:

- Bei Patienten, deren Blutdruck mit der maximal verträglichen Dosis Metformin allein nicht ausreichend kontrolliert werden kann
- In Kombination mit anderen Arzneimitteln zur Behandlung von Diabetes, bei Patienten, deren Diabetes mit Metformin und anderen Arzneimitteln nicht ausreichend kontrolliert ist
- Bei Patienten, die bereits mit der Kombination von Empagliflozin und Metformin als separate Tabletten behandelt werden

Bisher war die Anwendung auf Erwachsene beschränkt.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Fenofibrat/Pravastatin (Pravafenix, Laboratoires SMB) *empfohlen*: Die fixe Kombination ist als Ergänzung zu einer Diät und anderen nicht-medikamentösen Behandlungen (z. B. körperliche Betätigung, Gewichtsreduktion) zur Behandlung einer gemischten Hyperlipidämie bei erwachsenen Patienten mit hohem kardiovaskulären Risiko angezeigt, um die Triglyceride zu senken und das HDL-C zu erhöhen, wenn die LDL-C-Werte während einer Behandlung mit 40 mg Pravastatin als Monotherapie oder einer anderen Statintherapie mittlerer Intensität ausreichend kontrolliert werden.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für zoonotischen Influenza-Impfstoff (H5N1 – Aflunov, Seqirus) *empfohlen*: Der Impfstoff soll zukünftig bereits bei Personen ab einem Alter von sechs Monaten angewendet werden können.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Midazolam (Buccolam, Neuraxpharm) *empfohlen*: Das Antiepileptikum zur Behandlung langanhaltender, akuter Krampfanfälle soll zukünftig auch bei erwachsenen Patienten angewendet werden können. Bisher war die Anwendung bei Säuglingen ab drei Monaten, Kleinkindern und Jugendlichen bis 18 Jahre indiziert.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Mpxo-Impfstoff (Imvanex, Bavarian Nordic) *empfohlen*: Der Impfstoff ist indiziert zum Schutz vor Pocken, Mpocken und durch das Pockenvirus verursachten Krankheiten und kann zukünftig auch bei Jugendlichen im Alter von 12 bis 17 Jahren angewendet werden. Bisher war die Anwendung auf Erwachsene beschränkt.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Pembrolizumab (Keytruda, MSD) *empfohlen*: Der PD-1-Inhibitor soll zukünftig auch indiziert sein in Kombination mit einer Chemo-

radiotherapie (externe Strahlentherapie mit anschließender Brachytherapie) zur Behandlung von lokal fortgeschrittenem Gebärmutterhalskrebs im Stadium III–IVA gemäß FIGO 2014 bei Erwachsenen, die keine vorherige definitive Therapie erhalten haben. Pembrolizumab wird bereits in vielen onkologischen Indikationen angewendet.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Zulassungserweiterung für Turoctocog alfa pegol (Esperoct, Novo Nordisk) *empfohlen*: Das Mittel zur Behandlung und Prophylaxe von Blutungen soll zukünftig auch bei Patienten aller Altersgruppen mit Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel) indiziert sein. Bisher war die Anwendung auf Patienten ab zwölf Jahren beschränkt.

Mitteilung der EMA vom 20.09.2024

Wichtige Mitteilungen der FDA

Zulassung für Arimoclochol (Miplyffa, Zevra Therapeutics): Arimoclochol wurde zugelassen in Kombination mit dem Enzymhemmer Miglustat zur Behandlung neurologischer Symptome im Zusammenhang mit Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NPC) bei Erwachsenen und Kindern ab zwei Jahren. Es ist das erste von der FDA zur Behandlung von NPC zugelassene Medikament und hat „Priority-review“- , „Orphan-drug“- , „Rare-pediatric-disease“- , „Fast-track“- und „Breakthrough-therapy“-Status.

Mitteilung der FDA vom 20.9.2024

Zulassung für einen nasalen Grippe-Impfstoff zur Selbstanwendung (FluMist, MedImmune, LLC): FluMist ist bereits zur Vorbeugung von Grippeerkrankungen zugelassen, die durch Grippeviren der Subtypen A und B bei Personen im Alter von 2 bis 49 Jahren verursacht werden. Die aktuelle Zulassung erweitert die Möglichkeiten um die Selbstverabreichung oder die Verabreichung durch Pflegepersonal.

Mitteilung der FDA vom 20.9.2024

Zulassung für **Levacetylleucin** (Aqneursa, IntraBio): Levacetylleucin wurde zugelassen zur Behandlung neurologischer Symptome im Zusammenhang mit der Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NPC) bei Erwachsenen und Kindern mit einem Gewicht von mindestens 15 kg. Aqneursa hat „Priority-review“-„Orphan-drug“-„Rare-pediatric-disease“- und „Fast-track“-Status.
Mitteilung der FDA vom 20.9.2024

Zulassung für **Xanomelin/Trospiumchlorid** (Cobenfy, Bristol-Myers Squibb): Die fixe Wirkstoffkombination ist indiziert zur Behandlung von Schizophrenie bei Erwachsenen. Während der selektive Muskarinrezeptor-Agonist Xanomelin im gesamten Nervensystem wirkt, soll der Muskarinrezeptor-Antagonist Trospium unerwünschte Wirkungen in der Peripherie aufheben. Die bisher verfügbaren Therapien setzen an Dopamin- und nicht an Muskarin-Rezeptoren an.
Mitteilung der FDA vom 20.9.2024

Nutzenbewertung zum Zusatznutzen nach AMG: Mitteilungen des G-BA und IQWiG

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Efgartigimod alfa** (Vyvgart, Argenx) nach Überschreitung der 30-Millionen-Euro-Grenze für Orphan-Drugs zusätzlich zur Standardtherapie zur Behandlung von Erwachsenen mit generalisierter Myasthenia gravis (gMG), die Anti-Acetylcholin-Rezeptor(AChR)-Antikörper positiv sind: Ein Zusatznutzen gegenüber Eculizumab (für refraktäre Patienten) oder Ravulizumab ist nicht belegt.*
Mitteilung des G-BA vom 19.9.2024

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Idecabtagen vicleucel** (Abecma, Bristol-Myers Squibb) nach Überschreitung der 30-Millionen-Euro-Grenze für Orphan-Drugs für die Behandlung des rezidierten und refraktären multiplen Myeloms bei Erwachsenen,*

die mindestens zwei vorausgegangene Therapien, einschließlich eines Immunmodulators, eines Proteasom-Inhibitors und eines Anti-CD38-Antikörpers erhalten haben und unter der letzten Therapie eine Krankheitsprogression gezeigt haben: Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.
Mitteilung des G-BA vom 19.9.2024

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Oma-veloxolon** (Skyclarys, Biogen) zur Behandlung der Friedreich-Ataxie bei Patienten ab 16 Jahren: Oma-veloxolon ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens, somit gilt der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Es besteht ein Anhaltspunkt für einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.*
Mitteilung des G-BA vom 19.9.2024

Bettina Christine Martini, Legau