

EMA: Zulassung erfolgt für

- **Concizumab** (Alhemo, Novo Nordisk) zur Blutungsprophylaxe bei Hämophilie A oder B mit bestimmten Hemmkörpern (siehe Notizen Nr. 12/2024)

CHMP-Meeting-Highlights im Dezember 2024

Zulassungsempfehlung für Acoramidis (Beyontra, BridgeBio Europe): Das Herzmedikament soll indiziert sein zur Behandlung der Wildtyp- oder Varianten-Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit Kardiomyopathie (ATTR-CM).

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungsempfehlung für Belzutifan (Welireg, MSD): Das antineoplastische Mittel soll für zwei Indikationen zugelassen werden:

- Monotherapie zur Behandlung erwachsener Patienten mit fortgeschrittenem klarzelligem Nierenzellkarzinom, das nach zwei oder mehr Therapielinien, darunter ein PD-(L)1-Hemmer und mindestens zwei VEGF-zielgerichtete Therapien, progredient war
- Monotherapie zur Behandlung erwachsener Patienten mit Von-Hippel-Lindau-Krankheit, die eine Therapie für ein damit verbundenes lokalisiertes Nierenzellkarzinom, Hämangioblastom des zentralen Nervensystems oder neuroendokrinen Tumor des Pankreas benötigen und für die lokale Verfahren nicht geeignet sind

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungsempfehlung für Garadacimab (Andembry, CSL Behring): Der humane, rekombinante, monoklonale IgG4-Lambda-Antikörper soll indiziert sein zur Routineprävention wiederkehrender Anfälle eines hereditären Angioödems (HAE) bei Patienten ab 12 Jahren.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungsempfehlung für Imetelstat (Rytelo, Geron): Das antineoplastische

Mittel soll indiziert sein als Monotherapie zur Behandlung erwachsener Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund myelodysplastischer Syndrome (mit sehr niedrigem, niedrigem oder mittlerem Risiko), ohne isolierte zytogenetische 5q-Deletionsanomalie, die unbefriedigend auf eine Erythropoietin-basierte Therapie reagiert haben oder für diese nicht geeignet sind.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungsempfehlung für Nemolizumab (Nemluvio, Galderma): Der humanisierte monoklonale IgG2-Antikörper soll indiziert sein zur Behandlung von mittelschwerer bis schwerer atopischer Dermatitis bei Patienten ab 12 Jahren, die Kandidaten für eine systemische Therapie sind, sowie zur Behandlung von Erwachsenen mit mittelschwerer bis schwerer Prurigo nodularis, für die eine systemische Therapie infrage kommt.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungsempfehlung für Seladelpar-Lysin-Dihydrat (Seladelpar Gilead, CymaBay): Das Gallentherapeutikum soll indiziert sein zur Behandlung der primären biliären Cholangitis in Kombination mit Ursodeoxycholsäure (UDCA) bei Erwachsenen, die unzureichend auf UDCA allein ansprechen, oder als Monotherapie bei Patienten, die UDCA nicht vertragen.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungsempfehlung für Sipavibart (Kavigale, AstraZeneca): Der rekombinante humane monoklonale IgG1-Antikörper soll indiziert sein zur Prä-expositionsprophylaxe von COVID-19 bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg, deren Immunsystem aufgrund einer Erkrankung oder einer immunsuppressiven Behandlung geschwächt ist.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungsempfehlung für Zapomeran (Kostaive, Arcturus): Der RNA-basierte COVID-19-Impfstoff soll indiziert sein

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.

zur aktiven Immunisierung zur Vorbeugung einer COVID-19-Erkrankung bei Personen ab 18 Jahren.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungserweiterung für Blinatumomab (Blinicyto, Amgen) *empfohlen*: Das anti-neoplastische Antikörper-Wirkstoffkonjugat soll zukünftig bereits bei Patienten ab einem Lebensalter von einem Monat indiziert sein als Monotherapie im Rahmen einer Konsolidierungstherapie bei neu diagnostizierter Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL. Bisher war die Anwendung in dieser Indikation erst ab einem Alter von einem Jahr zugelassen.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungserweiterung für Dostarlimab (Jemperli, GSK) *empfohlen*: Die Indikationen des PD-1/PDL-1-Inhibitors sollen zukünftig lauten:

- In Kombination mit Carboplatin und Paclitaxel zur Erstlinienbehandlung erwachsener Patienten mit primär fortgeschrittenem oder rezidivierendem Endometriumkarzinom (hier entfallen die Zusätze „mit Mismatch-Reparatur-Defizit (dMMR)/hoher Mikrosatelliteninstabilität (MSI-H)“), die Kandidaten für eine systemische Therapie sind
- Monotherapie zur Behandlung erwachsener Patienten mit rezidivierendem oder fortgeschrittenem Endometriumkarzinom mit *Mismatch-Reparatur-Defizit (dMMR)/hoher Mikrosatelliteninstabilität (MSI-H)* (hier wurde der Zusatz neu aufgenommen), deren Krankheit während oder nach einer vorherigen Behandlung mit einem Platin-haltigen Therapieschema fortgeschritten ist.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungserweiterung für Grippeimpfstoff (Flucelvac Tetra, Seqirus Netherlands) *empfohlen*: Der Influenza-Impfstoff kann zukünftig zur Prophylaxe der Grippe bereits bei Kindern ab sechs Monaten angewendet werden. Bisher war die untere Altersgrenze bei 2 Jahren.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungserweiterung für Mirikizumab (Omvo, Eli Lilly) *empfohlen*: Der Interleukin-Inhibitor soll zukünftig auch in-

diziert sein zur Behandlung erwachsener Patienten mit mittelschwerem bis schwerem, aktivem Morbus Crohn, bei denen auf eine konventionelle Therapie oder eine biologische Behandlung unzureichend reagiert wurde, die Reaktion darauf verloren ging oder eine Unverträglichkeit dagegen bestand.

Mirikizumab ist bereits bei Colitis ulcerosa indiziert.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungserweiterung für Nintedanib (Ofev, Boehringer Ingelheim) *empfohlen*: Der Proteinkinase-Inhibitor soll zur Behandlung klinisch signifikanter, progressiver fibrosierender interstitieller Lungenerkrankungen (ILDs) zukünftig bereits bei Kindern und Jugendlichen im Alter von 6 bis 17 Jahren indiziert sein. Bisher war die Anwendung auf erwachsene Patienten beschränkt.

Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Zulassungserweiterung für Rilpivirin (Rekambys, Janssen-Cilag) und **Cabotegravir** (Vocabria, ViiV) *empfohlen*: Die Kombination des nicht-nukleosidischen Reverse-Transkriptase-Inhibitors (NNRTI) Rilpivirin als Depotinjektionssuspension in Kombination mit dem Integrase-Inhibitor Cabotegravir als Depotinjektion kann zukünftig bereits bei Jugendlichen (mindestens 12 Jahre alt und mindestens 35 kg schwer) in Kombination mit Cabotegravir-Injektion angewendet werden zur Behandlung einer Infektion mit HIV-1, die virologisch unterdrückt sind (HIV-1-RNA < 50 Kopien/ml) und eine stabile antiretrovirale Therapie erhalten, ohne dass gegenwärtige oder frühere Anzeichen einer Virusresistenz gegen Wirkstoffe der Klasse der NNRTI und Integrase-Inhibitoren vorliegen und bei denen kein vorheriges virologisches Versagen aufgetreten ist.

Bisher waren die zugelassenen Indikationen auf erwachsene Patienten beschränkt.

Mitteilungen der EMA vom 13.12.2024

Zulassungserweiterung für Sugammadex (Bridion, MSD) *empfohlen*: Das Muskelre-

laxans soll zukünftig zur routinemäßigen Aufhebung einer durch Rocuronium induzierten Blockade bei pädiatrischen Patienten ab der Geburt (bisher ab 2 Jahren) bis zum Alter von 17 Jahren indiziert sein. Mitteilung der EMA vom 13.12.2024

Wichtige Mitteilungen der FDA

Zulassung für Crinecerfont (Crenessity, Neurocrine Biosciences): Der CRF1 (corticotropin-releasing factor type 1)-Rezeptor-Antagonist wurde zugelassen in Kombination mit Glucocorticoiden zur Kontrolle des Androgenspiegels bei Erwachsenen und Kindern ab 4 Jahren mit klassischer kongenitaler Nebennierenhyperplasie. Crinecerfont wurde mit „Priority-review“- ,Orphan-drug“- , „Fast-track“- und Breakthrough-therapy“-Status ausgewiesen.

Mitteilung der FDA vom 13.12.2024

Zulassung für Remestemcel-L (Ryoncil, Mesoblast Limited): Die allogene (aus Spender-Knochenmark gewonnene) mesenchymale Stromazellentherapie wurde zugelassen zur Behandlung der Glucocorticoid-refraktären akuten Graft-versus-Host-Krankheit (SR-aGVHD) bei pädiatrischen Patienten ab einem Alter von 2 Monaten. Die Therapie wurde mit „Priority-review“- ,Orphan-drug“- und „Fast-track“-Status ausgewiesen.

Mitteilung der FDA vom 18.12.2024

Zulassungserweiterung für Tirzepatid (Zepbound, Eli Lilly – in Deutschland als Mounjaro im Handel): Das Inkretin-Mimetikum wurde zugelassen zur Behandlung von mittelschwerer bis schwerer obstruktiver Schlafapnoe (OSA) bei Erwachsenen mit Adipositas. Das Arzneimittel soll in Kombination mit einer kalorienreduzierten Ernährung und gesteigerter körperlicher Aktivität angewendet werden. Die Therapie wurde mit „Priority-review“- ,Breakthrough-therapy“- und „Fast-track“-Status ausgewiesen.

Mitteilung der FDA vom 20.12.2024

Wichtige Mitteilungen der AkdÄ

Rote-Hand-Brief zu Darvadstrocel

(Alofisel, Takeda): Rücknahme vom EU-Markt, da der klinische Nutzen nicht mehr nachgewiesen ist, um die weitere Verwendung zu rechtfertigen. Die randomisierte, Placebo-kontrollierte Studie ADMIRE-CD II, in der mit der einmaligen Darvadstrocel-Gabe komplexe perianale Fisteln bei 568 Patienten mit Morbus Crohn behandelt wurden, erreichte weder den primären Endpunkt der kombinierten Remission nach 24 Wochen noch einen der sekundären Endpunkte. AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 54 vom 20.12.2024

Information des BfArM zu Deferasirox

(Exjade, Novartis) wegen Anwendungsfehlern mit Überdosierung: Beim Wechsel der Darreichungsform von Tabletten zur Herstellung einer Suspension auf Filmtabletten muss bei Deferasirox die Dosierung angepasst werden, andernfalls kann es zu Überdosierungen und schwerwiegenden Nebenwirkungen kommen.

Die zwei oralen Darreichungsformen haben unterschiedliche Bioverfügbarkeiten (bei den Filmtabletten um etwa 36 % höher), sodass unterschiedliche Dosierungsempfehlungen und Maximaldosierungen bestehen, die zudem indikationspezifisch sind. Deferasirox ist seit 2022 in Deutschland ausschließlich als Filmtablette verfügbar. Davor waren auch Tabletten zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen verfügbar, die immer noch in einigen europäischen Mitgliedstaaten, der Türkei und den USA zugelassen sind. Beim Wechsel auf Filmtabletten bei Patienten, die vorher ggf. im Ausland auf Tabletten zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen eingestellt waren, muss die Dosierung angepasst werden.

AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 53 vom 19.12.2024

Rote-Hand-Brief zu Metamizol-haltigen

Arzneimitteln: Wichtige Maßnahmen zur Minimierung der schwerwiegenden Folgen des bekannten Risikos für Agranulozytose: Nach einer EU-weiten Über-

prüfung werden die Kontraindikationen, Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung von Metamizol überarbeitet, um das bekannte Risiko für Agranulozytose zu minimieren:

- Patienten, die mit Metamizol behandelt werden, müssen informiert werden über die Frühsymptome der Agranulozytose wie Fieber, Schüttelfrost, Halsschmerzen und schmerzhafte Schleimhautveränderungen, insbesondere im Mund, in der Nase und im Rachen oder im Genital- oder Analbereich.
- Diese Symptome können zu jedem Zeitpunkt während der Behandlung und auch kurz nach Behandlungsende auftreten.
- Bei Symptomen muss die Behandlung abgebrochen und ärztliche Hilfe sofort aufgesucht werden.
- Bei der Anwendung von Metamizol gegen Fieber sowie unter der gleichzeitigen Behandlung mit Antibiotika können einige Symptome einer beginnenden Agranulozytose verschleiert werden.
- Beim Verdacht einer Agranulozytose sollte sofort ein Blutbild (einschließlich Differenzialblutbild) erstellt werden, und die Behandlung muss unterbrochen werden, bis die Ergebnisse vorliegen. Wenn die Agranulozytose bestätigt wird, darf die Behandlung nicht wieder aufgenommen werden.
- Eine routinemäßige Überwachung des Blutbildes bei Patienten, die mit Metamizol behandelt werden, wird nicht mehr empfohlen.
- Metamizol ist kontraindiziert bei Patienten mit Agranulozytose in der Anamnese, die durch Metamizol (oder andere Pyrazolone oder Pyrazolidine) ausgelöst wurde, sowie bei Patienten mit beeinträchtigter Knochenmarkfunktion oder Erkrankungen des blutbildenden Systems.

Metamizol ist indiziert zur Behandlung von bestimmten Schmerzarten und hohem Fieber, das auf andere Maßnahmen nicht anspricht. Die Agranulozytose ist eine bekannte, sehr seltene Nebenwirkung von Metamizol (1 Fall pro 10 000

Behandelten). Eine durch Metamizol ausgelöste Agranulozytose ist nicht dosisabhängig und kann zu jedem Zeitpunkt während der Behandlung auftreten, auch bei Patienten, die bei einer vorherigen Behandlung keine Komplikationen gezeigt haben.

AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 50 vom 9.12.2024

Die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ) veröffentlicht einen *Fallbericht* zu Koronarspasmen und Myokardinfarkt nach **Pseudoephedrin**: Der AkdÄ wurde ein Fall eines auf generalisierten Koronarspasmen beruhenden Herzinfarkts gemeldet. Die Koronarspasmen traten kurze Zeit nach erstmaliger Anwendung eines rezeptfrei erhältlichen Kombinationsarzneimittels, das Acetylsalicylsäure und Pseudoephedrin enthält, auf. Der Patient wurde intensivmedizinisch betreut und erhielt mehrere Stents. Pathophysiologisch ist der Zusammenhang der Koronarspasmen mit der Einnahme von Pseudoephedrin plausibel. Pseudoephedrin ist ein indirektes Sympathomimetikum, das Noradrenalin aus sympathischen Nervenendigungen freisetzt. Der vasokonstriktive Effekt von Pseudoephedrin kann zu erhöhtem Blutdruck und Vasospasmus führen und hält lange an.

Pseudoephedrin wird allein oder kombiniert mit anderen Wirkstoffen angewendet zur symptomatischen Behandlung von Schleimhautschwellungen der Nase und Nebenhöhlen bei Rhinosinusitis sowie allergischer oder vasomotorischer Rhinitis. Die Anwendung erfolgt oral, die Arzneimittel sind in Deutschland rezeptfrei in der Apotheke erhältlich.

Zu den bekannten Risiken Pseudoephedrin-haltiger Arzneimittel gehören kardiovaskuläre Nebenwirkungen wie Hypertonie, Arrhythmien, Herzversagen, hämorrhagischer Schlaganfall sowie ischämische Ereignisse wie transitorisch-ischämische Attacke, Myokardinfarkt, Hirninfarkt oder ischämische Kolitis. Sie sind in unterschiedlichem Ausmaß in den Fachinformationen beschrieben.

Kürzlich wurde in einem EU-weiten Risikobewertungsverfahren das Risiko eines posterioren reversiblen Enzephalopathie-Syndroms (PRES) und eines zerebralen Vasokonstriktionssyndroms (RCVS) im Zusammenhang mit Pseudoephedrin bestätigt. Pseudoephedrin-haltige Arzneimittel sind daher kontraindiziert bei Patienten mit schwerer oder unkontrollierter Hypertonie sowie bei schwerer akuter oder chronischer Nierenerkrankung oder Nierenversagen.

Auch vermeintlich harmlose, rezeptfrei erhältliche Arzneimittel können schwerwiegende Nebenwirkungen verursachen. Gerade angesichts des rein symptomatischen Charakters der Behandlung mit Pseudoephedrin bei nicht schwerwiegender Indikation („verstopfte Nase“, Rhinosinusitis) sollten Patienten sorgfältig über Nutzen und Risiken aufgeklärt werden. AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 52 vom 17.12.2024

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

*Neubewertung nach Fristablauf ggü. der zweckmäßigen Vergleichstherapie für **Axicabtagen-Ciloleucel** (Yescarta, Gilead) bei dem neuen Anwendungsgebiet „zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit diffus großzelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL) und hochmalignem B-Zell-Lymphom (HGBL), die für eine Hochdosis-therapie infrage kommen und innerhalb von 12 Monaten nach Beendigung der Erstlinientherapie rezidivieren oder auf diese refraktär sind“: Es besteht ein Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen.*
Mitteilung des G-BA vom 19.12.2024

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Cefepim/Enmetazobactam** (Exblifep, Advanz Pharma) zur Behandlung der folgenden Infektionen bei Erwachsenen:*

- Komplizierte Harnwegsinfektionen (complicated urinary tract infections, cUTI), einschließlich Pyelonephritis

- Nosokomiale Pneumonie (hospital-acquired pneumonia, HAP), einschließlich beatmungsassoziierter Pneumonie (ventilator associated pneumonia, VAP).

Da es sich bei Cefepim/Enmetazobactam um ein Reserveantibiotikum handelt, gilt der *Zusatznutzen als belegt*; das Ausmaß des Zusatznutzens und seine therapeutische Bedeutung sind vom Gemeinsamen Bundesausschuss nicht zu bewerten. Der Gemeinsame Bundesausschuss legt Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung des Reserveantibiotikums unter Berücksichtigung der Auswirkungen auf die Resistenzsituation fest. Mitteilung des G-BA vom 5.12.2024

*Neubewertung ggü. der zweckmäßigen Vergleichstherapie eines Orphan-Drugs nach Überschreitung der 30-Millionen-Euro-Grenze für **Iptacopan** (Fabhalta, Novartis) als Monotherapie zur Behandlung erwachsener Patienten mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH), die eine hämolytische Anämie aufweisen: Iptacopan ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens, somit gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Für das Ausmaß des Zusatznutzens besteht ein Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt, unabhängig davon, ob die Patienten bereits vorbehandelt sind oder nicht.*
Mitteilung des G-BA vom 19.12.2024

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Nivolumab** (Opdivo, BMS) bei dem neuen Anwendungsgebiet „in Kombination mit Cisplatin und Gemcitabin für die Erstlinientherapie des nicht resezierbaren oder metastasierten Urothelkarzinoms bei Erwachsenen indiziert“. Gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie mit Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin gefolgt von Avelumab als Erhaltungstherapie (bei progressionsfreien Patienten) ist ein *Zusatznutzen nicht belegt*.*
Mitteilung des G-BA vom 19.12.2024

Nutzenbewertung des IQWiG

Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens

- „Anhaltspunkt“: schwächste Aussagesicherheit
- „Hinweis“: mittlere Aussagesicherheit
- „Beleg“: höchste Aussagesicherheit

Ausmaß des Zusatznutzens

- „gering“: niedrigstes Ausmaß
- „beträchtlich“: mittleres Ausmaß
- „erheblich“: höchstmögliches Ausmaß

[Quelle: <https://www.iqwig.de/>]

*Neubewertung nach Fristablauf ggü. der zweckmäßigen Vergleichstherapie für **Osimertinib** (Tagrisso, AstraZeneca) als Monotherapie zur adjuvanten Behandlung nach vollständiger Tumorresektion bei erwachsenen Patienten mit nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom (NSCLC) im Stadium IB–IIIA, deren Tumoren Mutationen des epidermalen Wachstumsfaktor-Rezeptors (EGFR) als Deletion im Exon 19 oder Substitutionsmutation im Exon 21 (L858R) aufweisen: Ein *Zusatznutzen ist nicht belegt*.*
Mitteilung des G-BA vom 19.12.2024

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Tofersen** (Qalsody, Biogen) zur Behandlung von Erwachsenen mit amyotropher Lateralsklerose (ALS), die mit einer Mutation im Superoxid-Dismutase-1(SOD1)-Gen assoziiert ist: Tofersen ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens, somit gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Für das Ausmaß des Zusatznutzens besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen*, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.*
Mitteilung des G-BA vom 19.12.2024

Bettina Christine Martini, Legau