

## EMA: Zulassung erfolgt für

- **Pegunigalsidase alfa** (Elfabrio, Chiesi) bei Morbus Fabry (siehe Notizen Nr. 3–4/2023)
- **Ivosidenib** (Tibsovo, Servier) bei neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (AML) mit einer Isocitratdehydrogenase-1 (IDH1)-R132-Mutation (siehe Notizen Nr. 3–4/2023; der Zulassungsantrag wurde eingereicht für Tibsovo und sein Duplikat Tidhesco, letztlich zugelassen wurde Ivosidenib als Tibsovo.)

## CHMP-Meeting-Highlights im Mai 2023

**Zulassungsempfehlung für Ganaxolon** (Ztalm, Marinus Pharmaceuticals Emerald Limited): Das Antiepileptikum soll zugelassen werden zur Behandlung epileptischer Anfälle im Zusammenhang mit CDKL5-Mangel (cyclindependent kinase-like 5 deficiency disorder [CDD]) bei Patienten im Alter von 2 bis 17 Jahren. Die Behandlung mit Ganaxolon kann bei Patienten über 18 Jahre fortgesetzt werden.

Mitteilung der EMA vom 25.5.2023

**Zulassungsempfehlung für Piflufolastat** (Pylclari, Curium Pet France): Das Radiopharmazeutikum ist für diagnostische Zwecke bestimmt und soll indiziert sein für den Nachweis von Prostata-spezifischen-Membranantigen (PSMA)-positiven Läsionen mittels Positronenemissionstomographie (PET) bei Erwachsenen mit Prostatakrebs in den folgenden klinischen Situationen:

- Primäres Staging von Patienten mit Hochrisiko-Prostatakarzinom vor der anfänglichen kurativen Therapie
- Lokalisierung des Wiederauftretens von Prostatakarzinomen bei Patienten mit Verdacht auf ein Wiederauftreten wegen steigender PSA-Serumspiegel nach primärer Behandlung mit kurativer Absicht

Mitteilung der EMA vom 25.5.2023

**Zulassungserweiterung für Nivolumab** (Opdivo, Bristol Myers Squibb) *empfohlen*: Der Checkpoint-Inhibitor soll zukünftig auch als neoadjuvante Behandlung bei nichtkleinzelligem Lungenkrebs (NSCLC) angewendet werden können: Nivolumab soll indiziert sein in Kombination mit einer Platin-basierten Chemotherapie für die neoadjuvante Behandlung von resektablem NSCLC mit hohem Rezidivrisiko bei erwachsenen Patienten, deren Tumoren eine PD-L1-Expression  $\geq 1\%$  aufweisen.

Nivolumab wird in der Onkologie bereits bei einigen Erkrankungen angewendet, zum Beispiel bei Melanom, Pleuramesotheliom, Nierenzellkarzinom, klassischem Hodgkin-Lymphom, Urothelkarzinom, Kopf-Hals-Tumoren, Ösophaguskarzinom, kolorektalem Karzinom.

Mitteilung der EMA vom 25.5.2023

**Zulassungserweiterung für Somapacitan** (Sogroya, Novo Nordisk) *empfohlen*: Das Wachstumshormonderivat soll in einer neuen Stärke von 15 mg/1,5 ml als Injektionslösung in einem Fertigpen zugelassen werden als Ersatz des endogenen Wachstumshormons bei Kindern ab 3 Jahren und Jugendlichen (pädiatrischer Wachstumshormonmangel) mit Wachstumsstörungen aufgrund von Wachstumshormonmangel. Bisher war das Wachstumshormonderivat bei Erwachsenen mit Wachstumshormonmangel zugelassen.

Mitteilung der EMA vom 25.5.2023

## Wichtige Mitteilungen der FDA

**Zulassung für Brexpiprazol** (Rexulti, Otsuka Pharmaceutical, Lundbeck) zur Behandlung von Unruhe im Zusammenhang mit Demenz aufgrund der Alzheimer-Krankheit. Dies ist die erste von der FDA zugelassene Behandlungsoption für diese Indikation.

Mitteilung der FDA vom 11.5.2023

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](http://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](http://www.fda.gov)

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

### BfArM [www.bfarm.de](http://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](http://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](http://www.iqwig.de)

### G-BA [www.g-ba.de](http://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.

**Zulassung für „fäkales Mikrobiota-Produkt“** (Vowst, Seres Therapeutics): Das oral einzunehmende Produkt wurde zugelassen zur Prävention des Wiederauftre-

tens einer Clostridioides-difficile-Infektion bei Personen ab 18 Jahren, bei denen nach einer antibakteriellen Behandlung erneut eine C.-difficile-Infektion aufgetreten ist. Dem Antrag wurde „Priority Review“- , „Breakthrough Therapy“- und „Orphan“-Status zuerkannt.

Mitteilung der FDA vom 26.4.2023

**Zulassung für Fezolinetant (Veozah, Astellas Pharma):** Der Neurokinin-3-Rezeptor-Antagonist wurde zugelassen zur oralen Therapie mittelschwerer bis schwerer vasomotorischer Symptome oder Hitzeempfindungen, die durch die Wechseljahre verursacht werden.

Mitteilung der FDA vom 12.5.2023

**Zulassung für RSV-Impfstoff (Arexvy, GlaxoSmithKline Biologicals):** RSVPreF3 ist ein rekombinantes RSV-spezifisches Antigen-Glykoprotein F und wurde in den USA zugelassen zur Vorbeugung von durch das Respiratorische Synzytial-Virus (RSV) verursachten Erkrankungen der unteren Atemwege bei Personen ab 60 Jahren. Die EMA hatte im April 2023 ebenfalls die Zulassung in Europa empfohlen.

Mitteilung der FDA vom 3.5.2023

### Wichtige Mitteilungen der AkdÄ und des BfArM

**Rote-Hand-Brief zu Propofol** wegen des Risikos für Sepsis bei Mehrfachentnahme aus einem Behältnis:

Propofol ist ein kurz wirkendes, intravenöses Narkosemittel. Es handelt sich um Emulsionen ohne Konservierungsstoffe, wodurch das Wachstum von Mikroorganismen begünstigt wird. Die Anwendung von mikrobiell kontaminierten Propofolhaltigen Arzneimitteln hat in der Vergan-

genheit wiederholt zu Fällen von Sepsis, teilweise mit tödlichem Ausgang, geführt.

- Propofol-haltige Arzneimittel sind ausschließlich für den einmaligen Gebrauch bei einem einzelnen Patienten zugelassen.
- Die Entnahme von Propofol aus einem Behältnis muss unter aseptischen Bedingungen erfolgen.
- Angebrochene Behältnisse sind nach der Benutzung zu entsorgen. Reste dürfen keinesfalls weiterverwendet werden.

Der Inhalt einer Durchstechflasche, Glasampulle sowie jede Spritze oder jedes Infusionssystem, das Propofol enthält, ist nur zur einmaligen Anwendung bei einem einzelnen Patienten bestimmt. Bei nicht aseptischer Handhabung oder bei Mehrfachentnahme kann es innerhalb von kurzer Zeit zu starkem Keimwachstum kommen. Daher muss mit der Verabreichung unverzüglich begonnen werden. Werden die Anwendungsempfehlungen nicht beachtet, sind lebensbedrohliche und tödliche Komplikationen möglich. AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 18 vom 16.5.2023

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

**Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Daridorexant (Quviviq, Idorsia)** zur Behandlung von Erwachsenen mit Schlafstörungen (Insomnie), deren Symptome seit mindestens drei Monaten anhalten und eine beträchtliche Auswirkung auf die Tagesaktivität haben (Anwendung bis zu vier Wochen): *Ein Zusatznutzen gegenüber Zolpidem ist nicht belegt.* Mitteilung des G-BA vom 12.5.2023

#### 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/>]

**Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Tezepelumab (Tezspire, AstraZeneca)** bei dem neuen Anwendungsgebiet „Add-on-Erhaltungstherapie bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit schwerem Asthma, das trotz hochdosierter inhalativer Glucocorticoide plus eines weiteren Arzneimittels zur Erhaltungstherapie unzureichend kontrolliert ist“: *Ein Zusatznutzen ist weder bei Erwachsenen noch bei Jugendlichen im Alter von 12 bis 17 Jahren belegt.* Mitteilung des G-BA vom 12.5.2023

**Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Tralokinumab (Adtralza, Leo Pharma)** zur Behandlung mittelschwerer bis schwerer atopischer Dermatitis bei Jugendlichen ab 12 Jahren, die für eine systemische Therapie infrage kommen: *Ein Zusatznutzen gegenüber Dupilumab (ggf. in Kombination mit topischen Glucocorticoiden und/oder topischen Calcineurininhibitoren) ist nicht belegt.* Mitteilung des G-BA vom 12.5.2023

Bettina Christine Martini, Legau