

Notizen

EMA: Zulassung erfolgt für

- **Datopotamab deruxitecan** (Datroway, Daiichi Sankyo) bei inoperablem oder metastasiertem Hormonrezeptor(HR)-positivem, HER2-negativem Brustkrebs (s. Notizen Nr. 3/2025)
- **Imetelstat** (Rytelo, Geron) bei transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (s. Notizen Nr. 2/2025)
- **Lecanemab** (Leqembi, Eisai) bei Patienten mit früher Alzheimer-Krankheit, bei denen eine Amyloid-Pathologie bestätigt ist, und die Apolipoprotein E ε4 (ApoE ε4)-Nichtträger oder heterozygote ApoE ε4-Träger sind
- **21-valente Pneumokokken-Konjugat-Vakzine** (Capvaxive, MSD) zur Prävention von Erkrankungen durch Streptococcus pneumoniae (s. Notizen Nr. 3/2025)
- **Tisotumab vedotin** (Tivdak, Pfizer) bei rezidiviertem oder metastasiertem Zervixkarzinom (s. Notizen Nr. 3/2025)

CHMP-Meeting-Highlights im April 2025

Zulassungsempfehlung für Deutivacaftor/Tezacaftor/Vanzacaftor (Alyftrek, Vertex Pharmaceuticals): Die fixe Dreierkombination enthält die beiden CFTR-Korrektoren Vanzacaftor und Tezacaftor sowie Deutivacaftor, das die Aktivität des defekten CFTR-Proteins verbessert. Bei Zulassung soll es indiziert sein zur Behandlung von Mukoviszidose bei Personen ab 6 Jahren, die mindestens eine Nicht-Klasse-I-Mutation im CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) aufweisen. Das Arzneimittel hat Orphan-Drug-Status. Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungsempfehlung für Diflunisal (Atrogy, Purpose Pharma) empfohlen: Der Stabilisator des Transthyretin-Tetramers soll indiziert sein zur Behandlung der hereditären Transthyretin-vermittelten Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit Polyneuropathie im Stadium 1 oder 2. Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

(Bedingte) Zulassungsempfehlung für Givinostat (Duvyzt, Italfarmaco): Der Histon-Deacetylase(HDAC)-Hemmer soll indiziert sein zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren und bei gleichzeitiger Behandlung mit Glucocorticoiden. Givinostat hat Orphan-Drug-Status. Eine bedingte Zulassung wird für ein Arzneimittel erteilt, das einen ungedeckten medizinischen Bedarf deckt, wenn der Nutzen einer sofortigen Verfügbarkeit für die öffentliche Gesundheit das Risiko überwiegt, das durch den Bedarf an zusätzlichen Daten entsteht. Vom Zulassungsinhaber wird erwartet, dass er zu einem späteren Zeitpunkt umfassende klinische Daten vorlegt. Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungsempfehlung für Sepiapterin (Sephience, PTC Therapeutics): Der Naturstoff ist ein Vorläufer des PAH(Phenylalaninhydroxylase)-Kofaktors Tetrahydrobiopterin (BH4) und soll indiziert sein zur Behandlung von Hyperphenylalaninämie bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit Phenylketonurie. Sepiapterin hat Orphan-Drug-Status. Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungsempfehlung für Teprotumumab (Tepezza, Amgen): Der monoklonale Antikörper soll indiziert sein zur Behandlung mittelschwerer bis schwerer Schilddrüsenaugenerkrankungen (auch Morbus Basedow) und wäre damit die erste pharmakologische Behandlungsoption für die Patienten. Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungsempfehlung für Zanidatamab (Ziihera, Jazz Pharmaceuticals): Der bispezifische Antikörper und HER2-Inhibitor soll indiziert sein zur Behandlung von Erwachsenen mit nichtresektablem HER2-positivem (IHC3+) Gallenwegskrebs, die zuvor mindestens eine systemische Therapielinie erhalten haben. Zanidatamab hat Orphan-Drug-Status. Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

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.

Zulassungserweiterung für Acalabrutinib (Calquence, AstraZeneca) empfohlen: Der Bruton-Tyrosinkinase-Hemmer soll zukünftig auch indiziert sein *in Kombination*

Notizen

mit **Venetoclax** mit oder ohne Obinutuzumab zur Behandlung erwachsener Patienten mit bisher unbehandelter chronischer lymphatischer Leukämie.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Baloxavir marboxil (Xofluza, Roche) *empfohlen*: Der antivirale Wirkstoff zur Behandlung und Postexpositionsprophylaxe der Influenza soll zukünftig bereits bei Patienten ab einem Alter von 3 Wochen indiziert sein. Bisher galt eine untere Altersgrenze von einem Jahr.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Brentuximab vedotin (Adcetris, Takeda) *empfohlen*: Zukünftig soll das Antikörper-Wirkstoff-Konjugat in der Therapie des Hodgkin-Lymphoms auch bei Patienten mit nicht vorbehandeltem CD30+ Stadium IIB mit Risikofaktoren, im Stadium III oder IV in Kombination mit Etoposid, Cyclophosphamid, Doxorubicin, Dacarbazin und Dexamethason (BrECADD) indiziert sein.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Damoctocog alfa pegol (Jivi, Bayer) *empfohlen*: Der rekombinante, gentechnisch hergestellte Blutgerinnungsfaktor VIII soll zukünftig bereits bei Kindern ab einem Alter von 7 Jahren indiziert sein zur Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei vorbehandelten Patienten mit Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel). Bisher galt eine untere Altersgrenze von 12 Jahren.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Efgartigimod alfa (Vyvgart, Argenx) *empfohlen*: Das selektive Immunsuppressivum soll zukünftig auch indiziert sein als Monotherapie zur Behandlung erwachsener Patienten mit fortschreitender oder rezidivierender aktiver chronisch inflammatorischer demyelinisierender Polyneuropathie nach vorheriger Behandlung mit Glucocorticoiden oder Immunglobulinen. Bisher

war es als Ergänzung zur Standard-Therapie indiziert.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Mercaptamin (Cystadrops, Recordati Rare Diseases) *empfohlen*: Die Augentropfen sollen zukünftig auch zur Behandlung von Cystinkristall-Ablagerungen in der Hornhaut bei Cystinose bereits bei Kindern ab einem Alter von 6 Monaten indiziert sein. Bisher galt eine untere Altersgrenze von 2 Jahren.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Remdesivir (Veklury, Gilead) *empfohlen*: Das Virusstatikum zur Behandlung der Coronavirus-Krankheit 2019 (COVID-19) soll zukünftig auch angewendet werden können bei Kindern (mindestens 4 Wochen alt und mindestens 3 kg schwer), die keinen zusätzlichen Sauerstoff benötigen und bei denen ein erhöhtes Risiko für einen schweren Verlauf von COVID-19 besteht.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Riociguat (Adempas, Bayer) *empfohlen*: Das Antihypertonikum zur Behandlung einer pulmonalen arteriellen Hypertonie (PAH) soll zukünftig in einer neuen Darreichungsform mit einer neuen Stärke (0,15 mg/ml Granulat zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen) zur Verfügung stehen und auch bei Kindern ab 6 Jahren mit PAH angewendet werden können.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Vogelgrippe-Impfstoff (Zoontic Influenza Vaccine [H5N8] Seqirus, Seqirus) *empfohlen*: Die Impfung soll zukünftig bereits bei Menschen ab 6 Monaten zur aktiven Immunisierung gegen den H5-Subtyp Influenza A indiziert sein. Bisher war die Impfung nur für Erwachsene zugelassen.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Zulassungserweiterung für Vutrisiran (Amvuttra, Alnylam) *empfohlen*: Das Mittel zur Behandlung der Neuropathie

soll zukünftig auch indiziert sein bei der Wildtyp- oder hereditären Transthyretin-Amyloidose bei Erwachsenen mit Kardiomyopathie.

Mitteilung der EMA vom 25.4.2025

Wichtige Mitteilungen der AkdÄ und des BfArM

Rote-Hand-Brief zu Ruxolitinibphosphat (Opzelura 15 mg/g Creme, Incyte Biosciences) wegen Partikeln in der Creme: Die Patienten sollten darauf hingewiesen werden, dass in Opzelura kleine, sichtbare, kristallartige Partikel vorhanden sein können.

Wenn ein Patient Kristalle in der Opzelura Creme bemerkt, sollte die Behandlung mit der betroffenen Tube umgehend abgebrochen, die Tube bei der abgebenden Apotheke zurückgegeben und um eine Austauschtube gebeten werden. Die Partikel können beim Auftragen der Creme ein gewisses Unbehagen hervorrufen, stellen aber kein wesentliches Sicherheitsrisiko dar, noch ist von einer Beeinträchtigung der Wirksamkeit des Produkts auszugehen.

AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 19 vom 25.4.2025

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

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Artesunat (Artesunate Amivas, Amivas Ireland) zur initialen Behandlung von schwerer Malaria bei Erwachsenen und Kindern: Artesunat ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens, somit gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzen ist *nicht quantifizierbar*, weil die erforderlichen Nachweise nicht vollständig sind.

Mitteilung des G-BA vom 17.4.2025

Notizen

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Capivasertib** (Truqap, Astra-Zeneca) in Kombination mit Fulvestrant zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit Estrogenrezeptor(ER)-positivem, HER2-negativem, lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Mammakarzinom mit einer oder mehreren PIK3CA/AKT1/PTEN-Alterationen nach Rezidiv oder Progression der Erkrankung während oder nach einer endokrinen Therapie.* Bei prä- oder perimenopausalen Frauen sollte Capivasertib plus Fulvestrant mit einem Luteinisierungshormon-Releasing-hormon(LHRH)-Agonisten kombiniert werden. Bei Männern sollte die Anwendung eines LHRH-Agonisten gemäß aktueller klinischer Standardpraxis in Betracht gezogen werden.

- Bei Frauen und Männern, die bisher *keine* Behandlung im lokal fortgeschrittenen oder metastasierten Stadium erhalten haben, ist ein *Zusatznutzen nicht belegt*.
- Bei Frauen mit Progression der Erkrankung während oder nach einer endokrinen Therapie, die im lokal fortgeschrittenen oder metastasierten Stadium erfolgte: *Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen*. Für Männer ist in dieser klinischen Situation ein *Zusatznutzen nicht belegt*.

Mitteilung des G-BA vom 3.4.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Delgocitinib** (Anzupgo, Leo Pharma) zur Behandlung von mittelschwerem bis schwerem chronischem Handekzem bei Erwachsenen, bei denen topische Glucocorticoide nicht ausreichen oder nicht geeignet sind: Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*

Mitteilung des G-BA vom 3.4.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Elafibranor** (Iqirvo, Ipsen Pharma) zur Behandlung der primär biliären Cholangitis in Kombination mit Ursodeoxycholsäure (UDCA) bei Erwachsenen, die nicht ausreichend auf UDCA ansprechen, oder als Monotherapie bei Patienten, die UDCA nicht vertragen:*

Elafibranor ist zugelassen 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 geringen Zusatznutzen* (s. S. 300). Mitteilung des G-BA vom 3.4.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Enfortumab vedotin** (Padcev, Astellas) bei dem neuen Anwendungsgebiet „in Kombination mit Pembrolizumab zur Erstlinientherapie bei erwachsenen Patienten mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, die für eine Platin-haltige Chemotherapie infrage kommen“*

- Patienten, die für eine Cisplatin-basierte Therapie geeignet sind: Gegenüber Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin (ggf. gefolgt von einer Avelumab-Erhaltungstherapie) besteht ein *Hinweis auf einen nichtquantifizierbaren Zusatznutzen*.
- Patienten, die *nicht* für eine Cisplatin-basierte Therapie geeignet sind: Gegenüber Carboplatin in Kombination mit Gemcitabin (ggf. gefolgt von einer Avelumab-Erhaltungstherapie) besteht ein *Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen*.

Mitteilung des G-BA vom 3.4.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie nach Aufhebung des regulatorischen Orphanstatus für das diffus groß-zellige B-Zell-Lymphom nach zwei oder mehr Vortherapien für **Epcoritamab** (Tepkinly, AbbVie): Unabhängig davon, ob die Patienten für eine CAR-T-Zelltherapie oder Stammzelltransplantation infrage kommen oder nicht, ist ein *Zusatznutzen nicht belegt*.*

Mitteilung des G-BA vom 17.4.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Meropenem/Vaborbactam** (Vaborem, Berlin-Chemie) zur Behandlung der folgenden Infektionen bei Erwachsenen:*

- Komplizierter Harnwegsinfekt einschließlich Pyelonephritis

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/>]

- Komplizierte intraabdominelle Infektion
- Nosokomial erworbene Pneumonie einschließlich Beatmungspneumonie
- Bakteriämie, die im Zusammenhang mit einer der genannten Infektionen auftritt, oder wenn ein Zusammenhang vermutet wird
- Infektionen durch aerobe gramnegative Organismen bei Erwachsenen mit eingeschränkten Behandlungsmöglichkeiten

Der *Zusatznutzen gilt in allen Indikationen als belegt*, da es sich bei Meropenem/Vaborbactam um ein Reserveantibiotikum handelt. Das Ausmaß des Zusatznutzens und seine therapeutische Bedeutung sind vom G-BA nicht zu bewerten. Der G-BA legt Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung des Reserveantibiotikums unter Berücksichtigung der Auswirkungen auf die Resistenzsituation fest. Mitteilung des G-BA vom 17.4.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Pembrolizumab** (Keytruda, MSD) bei dem neuen Anwendungsgebiet „in Kombination mit Enfortumab vedotin zur Erstlinienbehandlung des nicht resezierbaren oder metastasierten Urothelkarzinoms bei Erwachsenen“, die für eine Cisplatin-basierte Therapie geeignet sind:*

- Gegenüber Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin (ggf. gefolgt von einer Avelumab-Erhaltungstherapie) besteht ein *Hinweis auf einen nichtquantifizierbaren Zusatznutzen*.

Notizen

- Patienten, die *nicht* für eine Cisplatin-basierte Therapie geeignet sind: Gegenüber Carboplatin in Kombination mit Gemcitabin (ggf. gefolgt von einer Avelumab-Erhaltungstherapie) besteht ein *Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen*.
- Patienten, die *nicht* für eine Cisplatin- und Carboplatin-basierte Therapie geeignet sind: Gegenüber Atezolizumab als Monotherapie, Pembrolizumab als Monotherapie oder Best-Supportive-Care ist ein *Zusatznutzen nicht belegt*.

Mitteilung des G-BA vom 3.4.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Zolbetuximab** (Vyloy, Astellas) in Kombination mit Fluoropyrimidin- und Platin-haltiger Chemotherapie zur Erstlinienbehandlung von erwachsenen Patienten mit lokal fortgeschrittenem inoperablem oder metastasiertem HER2-negativem Adenokarzinom des Magens oder des gastroösophagealen Übergangs, deren Tumore Claudin (CLDN)-18.2-positiv sind: Zolbetuximab 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 geringen Zusatznutzen*.*

Mitteilung des G-BA vom 17.4.2025

Bettina Christine Martini, Legau