

Wichtige Mitteilungen von EMA und CHMP

Zulassung erfolgt für

■ **Berotrastat** (Orladeyo, BioCryst) für die Prävention wiederkehrender Attacken des hereditären Angioödems (HAE) (siehe Notizen Nr. 4/2021)

Zulassungsempfehlung für **Elivaldogen autotemcel**

(Skysona, Bluebird Bio): Die Gentherapie soll zugelassen werden zur Behandlung der frühen zerebralen Adrenoleukodystrophie (cerebral adrenoleukodystrophy, CALD) bei Patienten unter 18 Jahren mit einer ABCD1-Genmutation, wenn ein passender Stammzellspender nicht verfügbar ist. Für die Therapie werden dem Patienten unreife Knochenmarkszellen entnommen, die dann mit einem Lentivirus modifiziert werden, das eine funktionale Kopie des Gens ABCD1 enthält. Nach intravenöser Gabe der Stammzellen sollen daraus unterschiedliche Zelltypen entstehen, auch Neuronen im Gehirn, die das ALDP-Protein herstellen. Patienten erhalten die Behandlung mit Elivaldogen autotemcel einmalig in spezialisierten Behandlungszentren. Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungsempfehlung für **Odevixibat**

(Bylvay, Albireo): Der reversible, potente, selektive Inhibitor des ilealen Gallensäure-Transporters (IBAT) soll zugelassen werden zur Behandlung von progressiver familiärer intrahepatischer Cholestase (PFIC) bei Patienten ab 6 Monaten. Odevixibat wirkt lokal im distalen Dünndarm und reduziert die Wiederaufnahme von Gallensäuren, dadurch wird die Ausscheidung von Gallensäuren über den Dickdarm erhöht. Odevixibat hat Orphan-Drug-Status und wäre die erste zugelassene Behandlungsmöglichkeit für die seltene Lebererkrankung. Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungsempfehlung für Pitolisant (Ozawa, Bioprojet Pharma): Der H₃-Rezeptor-Antagonist soll zugelassen werden als orale Therapie bei erwachsenen Patienten

mit obstruktiver Schlafapnoe (OSA), um die Wachheit zu verbessern und übermäßige Tagesmüdigkeit zu reduzieren, wenn die Symptome durch eine Primärtherapie, wie z. B. durch kontinuierlichen positiven Atemwegsdruck (CPAP), nicht zufriedenstellend behandelt werden konnten oder wenn diese nicht toleriert wurde. Pitolisant ist als Wakix bereits zugelassen bei Narkolepsie.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungsempfehlung für **Relugolix/Estradiol/Norethisteronacetat**

(Ryeqo, Gedeon Richter): Die Dreifachkombination soll zugelassen werden zur Behandlung von Symptomen durch Uterusmyome bei erwachsenen Frauen im gebärfähigen Alter. Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungsempfehlung für **Setmelanotid**

(Imcivree, Rhythm Pharmaceuticals): Das Peptidanalogen soll zugelassen werden für die Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls bei Patienten ab 6 Jahren mit der nachgewiesenen genetischen Störung Pro-Opiomelanocortin(POMC)-Mangel – einschließlich Proproteinconvertase-Subtilisin/Kexin-Typ-1-Mangel (PCSK1) – und Leptinrezeptor(LEPR)-Mangel. Diese Mängel beeinflussen den Melanocortin-4-Rezeptor(MC4R)-Signalweg, der das Hunger- und Sättigungsgefühl beeinflusst. Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungsempfehlung für **Tirbanibulin mesylat**

(Klisyri, Almirall): Das Antibiotikum/Chemotherapeutikum zur äußerlichen Anwendung soll zugelassen werden zur lokalen Therapie nicht-hyperkeratotischer, nicht-hypertropher aktinischer Keratosen (Olsen Grad I) des Gesichts oder der Kopfhaut bei Erwachsenen. Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungsempfehlung für **Vericiguat**

(Verquvo, Bayer): Vericiguat soll zugelassen werden zur Behandlung einer symptomatischen chronischen Herzinsuffizienz bei erwachsenen Patienten mit reduzierter Ejektionsfraktion, die nach einem kürzlich

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.

zurückliegenden Dekompensationsereignis stabilisiert sind, das eine intravenöse Therapie erfordert.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Atazanavir und Cobicistat (Evotaz, BMS) *empfohlen*: Die antivirale Kombination kann zukünftig auch bei Jugendlichen ab 12 Jahren und einem Körpergewicht von mindestens 35 kg zur Therapie einer HIV-1-Infektion eingesetzt werden.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Blinatumomab (Blinicyto, Amgen) *empfohlen*: Zukünftig soll der monoklonale Antikörper als Monotherapie bei Kindern ab 1 Jahr mit Hochrisiko-Erst-Rezidiv einer Philadelphia-Chromosom-negativen CD19-positiven B-Zell-Vorläufer-ALL (akute lymphatische Leukämie) als Teil einer Konsolidierungstherapie indiziert sein. Bisher war die Anwendung erst nach Versagen zweier vorangegangener Therapien möglich.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Cemiplimab (Libtayo, Regeneron Ireland) *empfohlen*: Der bisher bei Plattenepithelzellkarzinom der Haut zugelassene monoklonale Antikörper soll zukünftig auch indiziert sein

- als Monotherapie für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Basalzellkarzinom (laBCC oder mBCC), die auf einen Hedgehog-Pathway-Inhibitor (HHI) nicht angesprochen haben oder diesen nicht vertragen
- als Monotherapie für die Erstlinienbehandlung von erwachsenen Patienten mit nicht-kleinzelligem Lungenkrebs (NSCLC), die PD-L1 exprimieren (in $\geq 50\%$ der Tumorzellen) und keine EGFR-, ALK- oder ROS1-Aberrationen aufweisen, bei lokal fortgeschrittenem NSCLC, wenn sie keine Kandidaten für eine definitive Chemoradiotherapie sind, oder bei metastasiertem NSCLC.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Daratumumab (Darzalex, Janssen-Cilag) *empfohlen*: Der bereits bei multiplem Myelom zugelassene monoklonale Antikörper kann zukünftig auch eingesetzt werden in Kombination

mit Pomalidomid und Dexamethason zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit multiplem Myelom, die eine vorherige Therapie mit einem Proteasom-Hemmer und Lenalidomid erhalten haben und Lenalidomid-refraktär waren oder mindestens zwei frühere Therapien erhalten haben, die Lenalidomid und einen Proteasom-Hemmer erhalten haben und bei denen die Erkrankung bei oder nach der letzten Therapie fortgeschritten ist.

Hinzukommen soll zukünftig zudem die Indikation in Kombination mit Cyclophosphamid, Bortezomib und Dexamethason zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit neu diagnostizierter systemischer Leichtketten-Amyloidose.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Empagliflozin (Jardiance, Boehringer Ingelheim) *empfohlen*: Das bisher als Antidiabetikum angewendete Arzneimittel soll zukünftig auch angewendet werden können bei Erwachsenen zur Behandlung von symptomatischer chronischer Herzinsuffizienz mit reduzierter Ejektionsfraktion.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Ipilimumab (Yervoy, BMS) bei Melanomen) *empfohlen*: Ipilimumab ist bereits bei vielen Tumorentitäten zugelassen und soll zukünftig in Kombination mit Nivolumab zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit metastasiertem kolorektalem Karzinom nach vorheriger Fluoropyrimidin-haltiger-Chemotherapie angewendet werden, wenn bestimmte genetische Varianten vorliegen, entweder Mismatch repair deficient (dMMR) oder eine Mikrosatelliteninstabilität (microsatellite instability high; MSI-H).

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Nivolumab (Opdivo, BMS) *empfohlen*: Nivolumab ist bereits bei vielen Tumorentitäten zugelassen und soll zukünftig in Kombination mit Ipilimumab zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit metastasiertem kolorektalem Karzinom nach vorheriger

Fluoropyrimidin-haltiger-Chemotherapie angewendet werden, wenn bestimmte genetische Gegebenheiten vorliegen, entweder Mismatch-Reparatur-Defizienz (dMMR) oder Mikrosatelliteninstabilität (microsatellite instability high; MSI-H).

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Pembrolizumab (Keytruda, MSD) *empfohlen*: Der monoklonale Antikörper kann zukünftig auch in Kombination mit einer Platin- und Fluoropyrimidin-basierten Chemotherapie für die Erstlinienbehandlung von Patienten mit lokal fortgeschrittenem nichtresezierbarem oder metastasierendem Karzinom der Speiseröhre oder HER-2-negativen Adenokarzinomen des gastrointestinalen Übergangs bei Erwachsenen angewendet werden, deren Tumoren PD-L1 mit einem CPS (combined positive score) von über 10 exprimieren.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Spherox (Präparation von Chondrozyten bei Gelenkverletzungen, CO.DON) *empfohlen*: Das Gewebeprodukt zur Reparatur von Knorpelschäden kann zukünftig auch bei Jugendlichen mit geschlossener epiphysischer Wachstumsplatte im betroffenen Gelenk angewendet werden.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Vildagliptin (Galvus bzw. Jalra bzw. Xiliarx, Novartis) *empfohlen*: Die Indikationen für den DPP-4-Inhibitor sollen zukünftig wie folgt gefasst werden: Als Ergänzung zu Diät und Bewegung zur Verbesserung der glykämischen Kontrolle bei Erwachsenen mit Diabetes mellitus Typ 2:

- Als Monotherapie bei Patienten, bei denen Metformin aufgrund von Kontraindikationen oder Intoleranz ungeeignet ist.
- In Kombination mit anderen Arzneimitteln zur Behandlung von Diabetes mellitus, einschließlich Insulin, wenn diese keine ausreichende glykämische Kontrolle bieten.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Zulassungserweiterung für Vildagliptin/Metformin (Eucreas bzw. Icantara bzw. Zomarist, Novartis) *empfohlen*: Die Indikationen für den DPP-4-Inhibitor in fixer Kombination mit Metformin sollen zukünftig wie folgt gefasst werden: Als Ergänzung zu Diät und Bewegung zur Verbesserung der glykämischen Kontrolle bei Erwachsenen mit Diabetes mellitus Typ 2:

- Bei Patienten, die mit Metformin alleine unzureichend kontrolliert werden.
- Bei Patienten, die bereits mit der Kombination von Vildagliptin und Metforminhydrochlorid als separate Tabletten behandelt werden.
- In Kombination mit anderen Arzneimitteln zur Behandlung von Diabetes, einschließlich Insulin, wenn diese keine angemessene glykämische Kontrolle bieten.

Mitteilung der EMA vom 21.5.2021

Wichtige Mitteilungen der FDA

Zulassung für Amivantamab (Rybrevant, Janssen, Johnson & Johnson): Der monoklonale Antikörper wurde zugelassen als Erstlinientherapie bei erwachsenen Patienten mit nichtkleinzelligem Lungenkarzinom, deren Tumor eine Exon-20-Insertion des epidermalen Wachstumsfaktor-Rezeptors (EGFR) aufweist.

Mitteilung der FDA vom 21.5.2021

Wichtige Mitteilungen der AkdÄ und des BfArM

Informationen zu Thrombosen mit Thrombozytopenie-Syndrom (TTS) im Zusammenhang mit Adenovirus-basierten Vektorimpfstoffen gegen COVID-19: Im Zusammenhang mit Adenovirus-basierten Vektorimpfstoffen gegen COVID-19, (Vaxzevria [COVID-19 Vaccine AstraZeneca], COVID-19 Vaccine Janssen) wurde sehr selten über eine ungewöhnliche Kombination von Thrombosen und Thrombozytopenie (Thrombose mit

Thrombozytopenie-Syndrom, TTS) berichtet.

Treten in einem zeitlichen Abstand von mehr als drei Tagen bis etwa drei Wochen zur Impfung Symptome auf wie Kurzatmigkeit, Brustschmerzen, Beinschwellungen oder -schmerzen, anhaltende Bauchschmerzen, Übelkeit oder Erbrechen, Blutergüsse außerhalb des Verabreichungsortes sowie neurologische Symptome wie starke oder anhaltende Kopfschmerzen, verschwommenes Sehen oder Krampfanfälle, sollten Geimpfte umgehend einen Arzt aufsuchen. Es sollten rasch weitere Maßnahmen eingeleitet werden, ggf. Vorstellung in einer Notaufnahme. Eine frühzeitige Diagnose und Behandlung sowie ggf. die Hinzuziehung von Spezialisten (z. B. Hämatologen, Gerinnungsspezialisten) sind angesichts des lebensbedrohlichen Krankheitsbilds wichtig. Weitere Details, einschließlich eines Flussdiagramms, zum Vorgehen bei Verdacht auf HIT/TTS sind der Stellungnahme der GTH (Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung) zu entnehmen.

AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 29 vom 11.5.2021

Rote-Hand-Brief zu Azacitidin 25 mg/ml Pulver zur Herstellung einer Injektions-suspension: Information an das medizinische Fachpersonal über das potenzielle Risiko einer falschen Rekonstitution (Medikationsfehler):

Azacitidin war bisher nur in der Packungsgröße von 100 mg verfügbar und wird nun zusätzlich in der Packungsgröße von 150 mg angeboten. Dies birgt ein potenzielles Risiko für Medikationsfehler. Daher ist im Hinblick auf die Rekonstitution folgendes zu beachten:

- Das 100-mg-Produkt wird mit 4 ml Wasser für Injektionszwecke rekonstituiert.
- Das 150-mg-Produkt wird mit 6 ml Wasser für Injektionszwecke rekonstituiert.
- Die Endkonzentration der rekonstituierten Suspension beträgt 25 mg/ml, unabhängig von der Packungsgröße.

AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 30 vom 20.5.2021

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

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für liposomales Amikacin (Arikayce liposomal, Inamed) zur Behandlung von Lungeninfektionen, verursacht durch das Mycobacterium-avium-Komplex (MAC) gehörende nicht-tuberkulöse Mykobakterien (NTM), bei Erwachsenen mit begrenzten Behandlungsoptionen, die keine zystische Fibrose haben: Amikacin (in liposomaler Formulierung) ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens. Somit gilt der medizinische 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 20.5.2021

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Atezolizumab (Tecentriq, Roche) bei dem neuen Anwendungsgebiet „Kombination mit Bevacizumab bei erwachsenen Patienten zur Behandlung des fortgeschrittenen oder nicht resezierbaren hepatozellulären Karzinoms (HCC), die keine vorherige systemische Behandlung erhalten haben“:

- Bei Patienten mit Child-Pugh A oder keiner Leberzirrhose ohne systemische Vortherapie besteht ein *Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie mit Sorafenib oder Lenvatinib*
- Bei Patienten mit Child-Pugh B ohne systemische Vortherapie ist ein *Zusatznutzen im Vergleich zu Best-Supportive-Care nicht belegt*.

Mitteilung des G-BA vom 20.5.2021

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Baricitinib (Olmiant, Lilly) bei dem neuen Anwendungsgebiet „Behandlung von mittelschwerer bis schwerer atopischer Dermatitis bei erwachsenen

Patienten, die für eine systemische Therapie infrage kommen“: Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Mitteilung des G-BA vom 6.5.2021

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Crizanlizumab (Adakveo, Novartis) zur Prävention wiederkehrender vasookklusiver Krisen bei Patienten ab 16 Jahren mit Sichelzellerkrankung. Es kann als Zusatztherapie zu Hydroxyurea/Hydroxycarbamid (HU/HC) gegeben werden oder als Monotherapie bei Patienten, bei denen die Anwendung von HU/HC nicht geeignet oder unzureichend ist. Crizanlizumab 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 20.5.2021

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Dapagliflozin (Forxiga, AstraZeneca) bei dem neuen Anwendungsgebiet „erwachsene Patienten zur Behandlung einer symptomatischen, chronischen Herzinsuffizienz mit reduzierter Ejektionsfraktion“. Es besteht ein **Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen**.

Mitteilung des G-BA vom 20.5.2021

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Guselkumab (Tremfya, Janssen-Cilag) bei dem neuen Anwendungsgebiet „Monotherapie oder Kombination mit Methotrexat zur Behandlung der aktiven Psoriasis-Arthritis bei erwachsenen Patienten, die auf eine vorangegangene krankheitsmodifizierende antirheumatische (DMARD) Therapie unzureichend angesprochen oder diese nicht vertragen haben. Ein Zusatznutzen ist nicht belegt, unabhängig davon, ob die vorangegangene Therapie DMARDs oder bDMARDs (biologisch) enthielt.

Mitteilung des G-BA vom 20.5.2021

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Ivacaftor (Kalydeco, Vertex Pharmaceuticals) eingesetzt in Kombination mit **Tezacaftor/Ivacaftor** (Symkevi, Vertex Pharmaceuticals) oder umgekehrt bei zystischer Fibrose, bei Patienten ab 6 bis < 12 Jahren:

- heterozygot bzgl. F508del- und RF-Mutation: Ein Zusatznutzen gegenüber Best-Supportive-Care ist nicht belegt.
- homozygot für die F508del-Mutation: Ein Zusatznutzen gegenüber Lumacaftor/Ivacaftor ist nicht belegt.

Mitteilung des G-BA vom 20.5.2021

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Ivacaftor (Kalydeco, Vertex Pharmaceuticals) bei dem neuen Anwendungsgebiet „zystische Fibrose, Patienten ab 4 bis < 6 Monate mit Gating-Mutationen“. Es besteht ein **Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen** gegenüber Best-Supportive-Care.

Mitteilung des G-BA vom 20.5.2021

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Niraparib (Zejula, GSK) bei dem neuen Anwendungsgebiet „Monotherapie zur Erhaltungstherapie bei erwachsenen Patientinnen mit fortgeschrittenem epitheliale (FIGO-Stadien III und IV) high-grade Karzinom der Ovarien, der Tuben oder mit primärem Peritonealkarzinom, die nach einer Platin-basierten Erstlinien-Chemotherapie ein Ansprechen (komplett oder partiell) haben“. Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Mitteilung des G-BA vom 20.5.2021

Neubewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Nusinersen (Spinraza, Biogen) zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (5q-SMA) nach Überschreitung der 50-Mio.-Euro-Grenze für Orphan-Drugs:

- Bei Patienten mit 5q-SMA Typ 1 besteht ein **Hinweis auf einen erheblichen Zusatznutzen**.
- Bei Patienten mit 5q-SMA Typ 2 besteht ein **Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen**.

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/>]

- Bei Patienten mit 5q-SMA Typ 3/4 ist ein **Zusatznutzen ist nicht belegt**.
 - Bei präsymptomatischen Patienten mit 5q-SMA und zwei SMN2-Genkopien besteht ein **Anhaltspunkt für einen erheblichen Zusatznutzen**.
 - Bei präsymptomatischen Patienten mit 5q-SMA und drei SMN2-Genkopien besteht ein **Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen**.
 - Bei präsymptomatischen Patienten mit 5q-SMA und mehr als drei SMN2-Genkopien ist ein **Zusatznutzen nicht belegt**.
- Mitteilung des G-BA vom 20.5.2021

Neubewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Tafamidis (Vyndaqel, Pfizer) nach Überschreitung der 50-Mio.-Euro-Grenze für Orphan-Drugs:

- Zur Behandlung der Wildtyp- oder hereditären Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit Kardiomyopathie (ATTR-CM) besteht ein **Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen** gegenüber Best-Supportive-Care.
- Zur Behandlung der Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1, um die Einschränkung der peripheren neurologischen Funktionsfähigkeit zu verzögern, ist ein **Zusatznutzen gegenüber Patisiran nicht belegt**.

Bettina Christine Martini, Legau