

EMA: Zulassung erfolgt für

- **Eplontersen** (Wainzua, AstraZeneca) bei hereditärer Transthyretin-Amyloidose (s. Notizen Nr. 12/24)
- **Seladelpar** (Seladelpar Gilead, Gilead) bei primärer biliärer Cholangitis (s. Notizen Nr. 2/25)

CHMP-Meeting-Highlights im März 2025

Zulassungsempfehlung für Eisen(III)-citrat-Komplex (Xoanacyl, Aveoia): Das Eisen-Präparat soll indiziert sein zur Behandlung von Hyperphosphatämie bei gleichzeitigem Eisenmangel bei erwachsenen Patienten mit chronischer Nierenerkrankung.

Mitteilung der EMA vom 27.3.2025

Zulassungserweiterung für Acalabrutinib (Calquence, AstraZeneca) *empfohlen*:

Der Bruton-Tyrosinkinase-Inhibitor soll zukünftig auch für die Behandlung von Erwachsenen mit bisher unbehandeltem Mantelzelllymphom indiziert sein, und zwar in Kombination mit Bendamustin und Rituximab bei Patienten, für die eine autologe Stammzelltransplantation (ASCT) nicht infrage kommt. Bisher wird Acalabrutinib bei chronisch lymphatischer Leukämie angewendet.

Mitteilung der EMA vom 27.3.2025

Zulassungserweiterung für Bosutinib

(Bosulif, Pfizer) *empfohlen*: Der BCR-ABL-Tyrosinkinase-Inhibitor soll zukünftig auch bei Kindern ab 6 Jahren angewendet werden können und ist zur Behandlung folgender Erkrankungen angezeigt:

- Erwachsene und pädiatrische Patienten ab sechs Jahren mit neu diagnostizierter Philadelphia-Chromosom-positiver chronisch myeloischer Leukämie (Ph+ CML) in der chronischen Phase (CP)
- Erwachsene und pädiatrische Patienten ab 6 Jahren mit CP Ph+ CML, die zuvor mit einem oder mehreren Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt

wurden und für die Imatinib, Nilotinib und Dasatinib nicht als geeignete Behandlungsoptionen gelten

- Erwachsene Patienten mit Ph+ CML in der chronischen Phase, akzelerierten Phase und Blastenphase, die zuvor mit einem oder mehreren Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden und für die Imatinib, Nilotinib und Dasatinib nicht als geeignete Behandlungsoptionen gelten

Mitteilung der EMA vom 27.3.2025

Zulassungserweiterung für Dalbavancin (Xydalba, AbbVie) *empfohlen*: Das Glykopeptid-Antibiotikum soll zukünftig zur Behandlung akuter bakterieller Haut- und Weichteilinfektionen ab Geburt indiziert sein. Bisher war Dalbavancin zur Behandlung von Patienten ab einem Alter von 3 Monaten zugelassen.

Mitteilung der EMA vom 27.3.2025

Zulassungserweiterung für Guselkumab

(Tremfya, Janssen-Cilag) *empfohlen*: Der Interleukin-Inhibitor soll zukünftig auch zur Behandlung erwachsener Patienten mit mittelschwerem bis schwerem, aktivem Morbus Crohn indiziert sein, bei denen eine konventionelle Therapie oder eine Behandlung mit einem Biologikum unzureichend oder nicht mehr anschlägt oder eine Unverträglichkeit vorliegt.

Bisher wird der Immunmodulator bereits bei Plaque-Psoriasis und Psoriasis-Arthritis angewendet.

Mitteilung der EMA vom 27.3.2025

Zulassungserweiterung für Influenza-

Impfstoff (Flucelvax, Seqirus) *empfohlen*: Der Grippeimpfstoff kann zukünftig auch bei Kindern ab einem Alter von 6 Monaten angewendet werden. Bisher galt eine Altersbeschränkung ab 2 Jahren.

Mitteilung der EMA vom 27.3.2025

Zulassungserweiterung für Nivolumab

(Opdivo, Bristol Myers Squibb) *empfohlen*: Der PD-1/PD-L1-Inhibitor soll zukünftig auch indiziert sein als neoadjuvante und adjuvante Behandlung bei nichtkleinzelligem Lungenkarzinom

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.

(NSCLC) in Kombination mit einer Platin-basierten Chemotherapie, gefolgt von Nivolumab als Monotherapie bei erwach-

senen Patienten mit resektablem Tumor und hohem Rezidivrisiko, und einer PD-L1-Expression von $\geq 1\%$. Zudem wird es eine neue Darreichungsform und eine neue Stärke von Nivolumab geben: Eine Injektionslösung mit 600 mg und eine subkutan anwendbare Formulierung.
Mitteilung der EMA vom 27.3.2025

Zulassungserweiterung für Tislelizumab (Tevimbra, BeiGene) *empfohlen*: Der PD-1/PD-L1-Inhibitor soll zukünftig auch indiziert sein zur Behandlung von kleinzelligem Lungenkrebs (SCLC) in fortgeschrittenem Stadium in Kombination mit Etoposid und einer Platin-basierten Chemotherapie zur Erstlinienbehandlung erwachsener Patienten.
Mitteilung der EMA vom 27.3.2025

Wichtige Mitteilungen der FDA

Zulassung für Fitusiran (Qfitlia, Sanofi): Fitusiran wurde zugelassen zur Routineprophylaxe von Blutungen, um die Häufigkeit von Blutungsepisoden bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten ab zwölf Jahren mit Hämophilie A oder B mit oder ohne Faktor-VIII- oder -IX-Hemmern (neutralisierende Antikörper) zu verhindern oder zu verringern. Fitusiran ersetzt nicht wie andere Arzneimittel fehlende Gerinnungsfaktoren, sondern es verringert die Menge von Antithrombin, was zu einem Anstieg von Thrombin führt, einem für die Blutgerinnung wichtigen Enzym. Qfitlia wird zunächst alle zwei Monate subkutan verabreicht und die individuelle Dosis in der Folge angepasst.
Mitteilung der FDA vom 28.3.2025

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

Neubewertung nach Fristablauf ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für

Atezolizumab (Tecentriq, Roche) als Monotherapie zur adjuvanten Behandlung des NSCLC nach vollständiger Resektion und Platin-basierter Chemotherapie bei Erwachsenen mit hohem Risiko für ein Rezidiv und deren Tumoren eine PD-L1-Expression auf $\geq 50\%$ der Tumorzellen aufweisen und die kein EGFR(Epidermal Growth Factor Receptor)-mutiertes oder ALK(anaplastische Lymphomkinase)-positives NSCLC haben: Es besteht *ein Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen* gegenüber beobachtendem Abwarten.
Mitteilung des G-BA vom 20.3.2025

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Atezolizumab (Tecentriq, Roche) bei dem neuen Anwendungsgebiet „Monotherapie bei erwachsenen Patienten zur Erstlinienbehandlung des fortgeschrittenen NSCLC, die für eine Platin-basierte Therapie ungeeignet sind“:

- Bei Patienten mit PD-L1-Expression $\geq 50\%$ der Tumorzellen: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt*
 - Bei Patienten mit PD-L1-Expression $< 50\%$ der Tumorzellen: *Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen*
- Mitteilung des G-BA vom 20.3.2025

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Binimetinib (Mektovi, Pierre Fabre) bei dem neuen Anwendungsgebiet „in Kombination mit Encorafenib bei erwachsenen Patienten mit fortgeschrittenem nichtkleinzelligem Lungenkarzinom mit einer BRAF-V600E-Mutation“: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*
Mitteilung des G-BA vom 20.3.2025

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Cprovalimab (Piasky, Roche) als Monotherapie zur Behandlung von erwachsenen und pädiatrischen Patienten ab zwölf Jahren mit einem Gewicht von mindestens 40 kg mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH):

- Bei Patienten mit Hämolyse mit klinischen Symptomen, die auf eine hohe Krankheitsaktivität hinweisen

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, die nach mindestens sechs Monaten Behandlung mit einem Inhibitor der Komplementkomponente 5 (C5) klinisch stabil sind *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt, unabhängig von der Krankheitsaktivität.*
Mitteilung des G-BA vom 6.3.2025

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Encorafenib (Braftovi, Pierre Fabre) bei dem neuen Anwendungsgebiet „in Kombination mit Binimetinib bei erwachsenen Patienten mit fortgeschrittenem nichtkleinzelligem Lungenkarzinom mit einer BRAF-V600E-Mutation“: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*
Mitteilung des G-BA vom 20.3.2025

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Epcoritamab (Tepkinly, AbbVie) bei dem neuen Anwendungsgebiet „Monotherapie zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit einem rezidivierenden oder refraktären follikulären Lymphom nach mindestens zwei Linien einer systemischen Therapie“: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*
Mitteilung des G-BA vom 6.3.2025

Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für Isavuconazol (Cresemba, Pfizer) bei den neuen Anwendungsgebieten:

- „Behandlung von Kindern und Jugendlichen ab einem Alter von 1 Jahr mit Mukormykose, bei denen eine Behandlung mit Amphotericin B nicht angemessen ist“

Notizen

- „Behandlung von Kindern und Jugendlichen ab einem Alter von 1 Jahr mit invasiver Aspergillose“

Isavuconazol ist in beiden Indikationen 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 nicht quantifizierbaren Zusatznutzen*, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Mitteilung des G-BA vom 20.3.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Linzagolix** (Yselty, Theramex) bei erwachsenen Frauen im gebärfähigen Alter zur Behandlung mäßiger bis starker Symptome von Uterusmyomen. Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*

Mitteilung des G-BA vom 6.3.2025

*Neubewertung nach Fristablauf ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Pembrolizumab** (Keytruda, MSD) bei dem neuen Anwendungsgebiet „in Kombination mit Chemotherapie zur neoadjuvanten und anschließend nach Operation als Monotherapie zur adjuvanten Behandlung des lokal fortgeschrittenen*

oder frühen triple-negativen Mammakarzinoms mit hohem Rezidivrisiko bei Erwachsenen“:

- In Kombination mit Paclitaxel und Carboplatin gefolgt von Pembrolizumab in Kombination mit Doxorubicin oder Epirubicin und Cyclophosphamid (neoadjuvant) und Pembrolizumab (adjuvant) gegenüber Paclitaxel und Carboplatin gefolgt von Doxorubicin oder Epirubicin und Cyclophosphamid (neoadjuvant) und beobachtendem Abwarten (adjuvant): Es besteht ein *Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen.*
- In Kombination mit einer anderen Chemotherapie als Paclitaxel und Carboplatin gefolgt von Pembrolizumab in Kombination mit einer anderen Chemotherapie als Doxorubicin oder Epirubicin und Cyclophosphamid (neoadjuvant) und Pembrolizumab (adjuvant) gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*

Mitteilung des G-BA vom 20.3.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Polihexanid** (Akantior, SIFI) zur Behandlung der Akanthamöben-*

Keratitis bei Erwachsenen und Kindern ab 12 Jahren: Polihexanid 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 nicht quantifizierbaren Zusatznutzen*, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Mitteilung des G-BA vom 20.3.2025

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Sotatercept** (Winreva, MSD) in Kombination mit anderen Therapien für die Behandlung von pulmonaler arterieller Hypertonie bei erwachsenen Patienten mit der WHO-Funktionsklasse II bis III zur Verbesserung der körperlichen Leistungsfähigkeit: Es besteht ein *Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen.**

Mitteilung des G-BA vom 6.3.2025

Bettina Christine Martini, Legau