

## EMA: Zulassung erfolgt für

- **Quizartinib** (Vanflyta, Daiichi Sankyo) bei neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (FLT3-ITD-positiv) (siehe Notizen Nr. 11/2023)
- **Pirtobrutinib** (Jaypirca, Lilly) bei Mantelzellymphom (siehe Notizen Nr. 6/2023)

## CHMP-Meeting-Highlights im November 2023

**Zulassungsempfehlung für Momelotinib** (Omjjara, GlaxoSmithKline): Der Proteinkinaseinhibitor soll indiziert sein für die Behandlung krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptome bei erwachsenen Patienten mit mittelschwerer bis schwerer Anämie, die an primärer Myelofibrose, Post-Polyzythämia-vera-Myelofibrose oder postessenzieller Thrombozythämie-Myelofibrose leiden und noch nicht mit Janus-Kinase(JAK)-Inhibitoren behandelt wurden oder die bereits mit Ruxolitinib vorbehandelt waren.

Momelotinib wurde als Arzneimittel für seltene Leiden ausgewiesen.  
Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungsempfehlung für Rozanolixizumab** (Rystiggo, UCB Pharma): Das Immunsuppressivum soll indiziert sein als Ergänzung zur Standardtherapie bei generalisierter Myasthenia gravis bei erwachsenen Patienten, die Antikörper gegen den Acetylcholin-Rezeptor (AChR) oder die muskelspezifische Tyrosinkinase (MuSK) aufweisen. Rozanolixizumab wurde als Arzneimittel für seltene Leiden ausgewiesen.  
Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungsempfehlung für Trametinib** (Spexotras, Novartis): Der Proteinkinaseinhibitor soll indiziert sein bei:

- Niedriggradigem Gliom (LGG) in Kombination mit Dabrafenib für die Behandlung von pädiatrischen Patienten ab 1 Jahr mit BRAF-V600E-Mutation, die eine systemische Therapie benötigen.
- Hochgradigem Gliom (HGG) in Kombination mit Dabrafenib für die

Behandlung von pädiatrischen Patienten ab 1 Jahr mit einer BRAF-V600E-Mutation, die zuvor mindestens eine Strahlen- und/oder Chemotherapie erhalten haben.

Trametinib wurde als Arzneimittel für seltene Leiden ausgewiesen.  
Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für Avapritinib** (Ayvakyt, Blueprint Medicines) empfohlen: Der Tyrosinkinasehemmer soll zukünftig auch indiziert sein für die Behandlung erwachsener Patienten mit indolenter systemischer Mastozytose (ISM) mit mittelschweren bis schweren Symptomen, die durch symptomatische Behandlung nur unzureichend kontrolliert werden können. Bisher ist Avapritinib bei fortgeschrittener systemischer Mastozytose indiziert sowie bei nichtresezierbaren oder metastasierten gastrointestinalen Stromatumoren.

Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für Empagliflozin** (Jardiance, Boehringer Ingelheim) empfohlen: Zur Behandlung von unzureichend kontrolliertem Typ-2-Diabetes als Ergänzung zu Diät und Bewegung soll Empagliflozin zukünftig auch bei Kindern ab 10 Jahren indiziert sein. Bisher war die Anwendung auf erwachsene Patienten beschränkt.

Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für Evincumab** (Evkeeza, Ultragenyx) empfohlen: Der Lipidsenker soll zukünftig auch bei pädiatrischen Patienten ab 5 Jahren indiziert sein als Ergänzung zu Diät und anderen Therapien zur Senkung des Low-Density-Lipoprotein-Cholesterins (LDL-C) bei homozygoter familiärer Hypercholesterinämie (HoFH). Bisher ist der monoklonale Antikörper bei Jugendlichen ab 12 Jahren und erwachsenen Patienten indiziert.  
Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für Influenza-Impfstoff** (Fluad Tetra, Seqirus Niederlande) empfohlen: Der Grippe-Impfstoff soll

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.

zukünftig indiziert sein zur Prophylaxe der Influenza bei Erwachsenen ab 50 und nicht mehr wie bisher ab 65 Jahren.  
Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für Patiromer** (Veltassa, Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma) empfohlen: Das Mittel zur Behandlung einer Hyperkaliämie soll in der neuen Darreichungsform und Stärke mit 1 g Pulver zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen zugelassen werden und indiziert sein bei Jugendlichen im Alter von 12 bis 17 Jahren. Bisher gibt es das Pulver nur mit 8,4 oder 16,8 sowie 25,2 g für die Behandlung von Erwachsenen.

Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für Pembrolizumab** (Keytruda, MSD) empfohlen: Der PD-1-Inhibitor soll zukünftig auch indiziert sein bei erwachsenen Patienten zur Erstbehandlung von lokal fortgeschrittenem inoperablem oder metastasiertem Gallengangskarzinom in Kombination mit Gemcitabin und Cisplatin.

Pembrolizumab ist bereits bei vielen anderen Krebserkrankungen zugelassen. Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für proteolytische Enzyme, angereichert mit Bromelain** (NexoBrid, MediWound Deutschland) empfohlen: Das Pulver zur Herstellung eines Wundgels soll zukünftig in allen Altersgruppen indiziert sein zur Entfernung von Schorf mit tiefen teilweisen und vollständigen thermischen Verbrennungen. Bisher war die Anwendung auf erwachsene Patienten beschränkt.

Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für Talazoparib** (Talzenna, Pfizer) empfohlen: Der PARP-Inhibitor soll zukünftig auch in Kombination mit Enzalutamid indiziert sein zur Behandlung erwachsener Patienten mit metastasiertem kastrationsresistentem Prostatakrebs (mCRPC), bei denen eine Chemotherapie klinisch nicht indiziert ist. Bisher ist Talazoparib bei Brustkrebs indiziert.

Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

**Zulassungserweiterung für Tirzepatid** (Mounjaro, Eli Lilly) empfohlen: Der

duale Agonist (an GLP-1[Glucagon-Like Peptide 1]- und GIP[Glucose-abhängiges Insulinotropes Peptid]-Rezeptoren) soll zukünftig auch im Bereich Gewichtsmanagement indiziert sein:

Als Ergänzung zu einer kalorienreduzierten Diät und erhöhter körperlicher Aktivität zur Gewichtskontrolle einschließlich Gewichtsabnahme und Gewichtserhaltung bei Erwachsenen mit einem anfänglichen Body-Mass-Index (BMI) von

- $\geq 30 \text{ kg/m}^2$  (Adipositas) oder
- $\geq 27 \text{ kg/m}^2$  bis  $< 30 \text{ kg/m}^2$  (Übergewicht) bei Vorliegen mindestens einer gewichtsbedingten Begleiterkrankung (z. B. Bluthochdruck, Dyslipidämie, obstruktive Schlafapnoe, Herz-Kreislauf-Erkrankung, Prädiabetes oder Typ-2-Diabetes)

Bisher ist Tirzepatid zur Behandlung von Diabetes mellitus Typ 2 zugelassen.

Mitteilung der EMA vom 10. November 2023

## Wichtige Mitteilungen der FDA

**Zulassung für gereinigtes rekombinantes ADAMTS13-Enzym** (Adzynma, Takeda Pharmaceuticals): Das rekombinante (gentechnisch veränderte) Proteinprodukt wurde zugelassen für die prophylaktische oder bedarfsgerechte Enzyersatztherapie (ERT) bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit angeborener thrombotischer thrombozytopenischer Purpura (cTTP), einer seltenen und lebensbedrohlichen Blutgerinnungsstörung.

Adzynma wurde mit vorrangiger Prüfung seltener pädiatrischer Krankheiten sowie mit „Orphan“- „Priority Review“- und „Fast Track“-Status behandelt.

Mitteilung der FDA vom 9.11.2023

**Zulassung für Chikungunya-Impfstoff** (Ixchiq, Valneva Austria): Der Impfstoff wurde zugelassen zur Vorbeugung von Erkrankungen durch das Chikungunya-Virus für Personen ab 18 Jahren, bei denen ein erhöhtes Risiko besteht, dem Virus ausgesetzt zu sein. Das Virus wird

hauptsächlich durch Stiche infizierter Mücken übertragen.

Ixchiq wurde mit „Fast Track“- und „Breakthrough-Therapie“-Status in einem vorrangigen Prüfungsverfahren zugelassen. Mitteilung der FDA vom 9.11.2023

**Zulassung für Tirzepatid** (Zepbound, Eli Lilly): Der einmal wöchentlich zu verabreichende GLP-1- und GIP-Agonist wurde zugelassen zur Gewichtskontrolle zusätzlich zu einer kalorienreduzierten Diät und erhöhter körperlicher Aktivität bei Erwachsenen mit Adipositas (BMI von  $30 \text{ kg/m}^2$  oder mehr) oder Übergewicht (BMI von  $27 \text{ kg/m}^2$ ) mit mindestens einer gewichtsbedingten Erkrankung (z. B. Bluthochdruck, Typ-2-Diabetes oder hoher Cholesterinspiegel).

Zepbound wurde mit „Priority Review“- und „Fast Track“-Status behandelt.

Mitteilung der FDA vom 8.11.2023

## Wichtige Mitteilungen der AkdÄ und des BfArM

**Drug Safety Mail der AkdÄ zu Hydroxyethylstärke(HES)-haltigen Infusionslösungen:** Eine Überprüfung der Sicherheit HES-haltiger Infusionslösungen (kolloidale Volumenersatzmittel) ergab 2013 ein erhöhtes Risiko für Nierenfunktionsstörungen und Mortalität bei Sepsis oder kritischen Erkrankungen. Die Indikation wurde daher eingeschränkt auf die Behandlung der Hypovolämie aufgrund eines akuten Blutverlusts, wenn Kristalloide allein als nicht ausreichend erachtet werden. Zudem wurden neue Kontraindikationen wie Sepsis, Nierenfunktionsstörung oder kritische Erkrankungen eingeführt. Ein aktueller Rote-Hand-Brief informiert über weitere risikomindernde Maßnahmen:

- HES-haltige Produkte sollen ausschließlich in den zugelassenen Anwendungsgebieten angewendet und Beschränkungen, insbesondere Gegenanzeigen, strikt eingehalten werden.
- HES-haltige Infusionslösungen sollen nicht (prophylaktisch) angewendet