

Wichtige Mitteilungen von EMA und CHMP

Zulassung erfolgt für

- **Elivaldogen autotemcel** (Skysona, bluebird bio) zur Therapie der frühen zerebralen Adrenoleukodystrophie, wenn kein humaner Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler Geschwister-spender hämatopoetischer Stammzellen (HSZ) zur Verfügung steht (siehe Notizen Nr. 7/2021)
- **Odevixibat** (Bylva, Albiro) für die orale Behandlung der progressiven familiären intrahepatischen Cholestase bei Patienten ab 6 Monaten (siehe Notizen Nr. 7/2021)
- **Relugolix** in Kombination mit Estradiol und Norethisteronacetat (Ryeqo, Gedeon Richter) zur Behandlung mäßiger bis starker Symptome von Uterusmyomen (siehe Notizen Nr. 7/2021)
- **Roxadustat** (Evrenzo, Astellas) bei symptomatischer Anämie bei chronischer Nierenerkrankung (siehe Notizen Nr. 8/2021)
- **Vericiguat** (Verquvo, Bayer) bei symptomatischer chronischer Herzinsuffizienz (siehe Notizen Nr. 7/2021)

Wichtige Mitteilungen der FDA

Zulassung für **Avalglucosidase alfa** (Nexviazyme, Genzyme Corporation): Die Enzyersatztherapie zur Infusion wurde zugelassen bei Patienten ab einem Jahr mit spät beginnendem Morbus Pompe, einer seltenen genetisch bedingten Erkrankung, bei der es zur Ansammlung von Glykogen in Skelett- und Herzmuskeln mit gravierenden Folgeschäden bis zum Tod kommt. Ende Juli 2021 war die Therapie auch in der EU zur Zulassung empfohlen worden.

Der Zulassungsprozess erfolgte mit „Fast track“- , „Priority review“- , Breakthrough therapy“- und „Orphan drug“- Status. Mitteilung der FDA vom 6.8.2021

Zulassung für **Covid-19-Vaccine** (Comirnaty, Biontech/Pfizer): Bereits seit dem

11. Dezember 2020 ist Comirnaty im Rahmen einer Notfallzulassung zur Impfung gegen SARS-CoV-2 bei Personen ab 16 Jahren in den USA erhältlich und die Indikation wurde am 10. Mai 2021 auf Personen im Alter von 12 bis 15 Jahren ausgeweitet. Für Personen ab 16 Jahren ist die Zulassung nunmehr regulär. Für Personen im Alter von 12 bis 15 Jahren und für die Verabreichung einer dritten Dosis bei bestimmten immungeschwächten Personen ist der Impfstoff weiterhin im Rahmen der Notfallzulassung erhältlich. Mitteilung der FDA vom 23.8.2021

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

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Acalabrutinib** (Calquence, AstraZeneca) als Monotherapie bei erwachsenen Patienten mit chronischer lymphatischer Leukämie (CLL), die mindestens eine Vorbehandlung erhalten haben.*

- Patienten nach einer Vortherapie, die *keine* 17p-Deletion oder TP53-Mutation aufweisen und für die eine Chemo-Immuntherapie angezeigt ist: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*
- Patienten nach einer Vortherapie, die *eine* 17p-Deletion oder TP53-Mutation aufweisen oder für die eine Chemo-Immuntherapie aus anderen Gründen nicht angezeigt ist: Es besteht ein *Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen.*
- Patienten nach mindestens *zwei* Vortherapien: Bei Patienten, für die Idelalisib in Kombination mit Rituximab oder Rituximab in Kombination mit Bendamustin die patientenindividuell geeignete Therapie darstellt, besteht ein *Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen.* Bei Patienten, für die eine andere Therapie als Idelalisib in Kombination mit Rituximab oder Rituximab in Kombination mit Bendamustin die patientenindividuell geeignete Therapie darstellt, ist ein *Zusatznutzen nicht belegt.*

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.

tin die patientenindividuell geeignete Therapie darstellt, ist ein *Zusatznutzen nicht belegt.*
Mitteilung des G-BA vom 5.8.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **autologe Anti-CD19-transduzierte CD3-positive Zellen** (Tecartus, Gilead) zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem Mantelzell-Lymphom (MCL) nach zwei oder mehr systemischen Therapien, die einen Bruton-Tyrosinkinase-(BTK-) Inhibitor einschließen: Die Therapie ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens, somit gilt der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Für das Ausmaß des Zusatznutzens gilt: Es besteht ein Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.*
Mitteilung des G-BA vom 5.8.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Avelumab** (Bavencio, Merck Serono und Pfizer) als Monotherapie in der Erstlinien-Erhaltungstherapie bei erwachsenen Patienten mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Urothelkarzinom, die nach einer Platin-basierten Chemotherapie progressionsfrei sind: Es besteht ein Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen gegenüber dem zweckmäßigen Vergleich „Best supportive Care“.*
Mitteilung des G-BA vom 19.8.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Baloxavir marboxil** (Xofluza, Roche Pharma) (siehe auch Seite 437)*

- zur *Postexpositions-Prophylaxe* einer Influenza bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren: Bei Personen ohne Risiko für influenzabedingte Komplikationen ist die zweckmäßige Vergleichstherapie beobachtendes Abwarten und es besteht ein Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen. Bei Personen mit Risiko für Influenza-bedingte Komplikationen ist die zweckmäßige Vergleichstherapie eine antivirale Therapie (Oseltamivir oder Zanamivir) gegenüber dieser ein Zusatznutzen nicht belegt ist.
- zur *Behandlung* einer unkomplizierten Influenza bei Erwachsenen und Ju-

gendlichen ab 12 Jahren: Bei Personen ohne Risiko für influenzabedingte Komplikationen besteht die zweckmäßige Vergleichstherapie in einer symptomatischen Therapie, bei hohem Risiko ist eine antivirale Therapie mit Oseltamivir oder Zanamivir der zweckmäßige Vergleich: In beiden Fällen ist ein Zusatznutzen nicht belegt.
Mitteilung des G-BA vom 5.8.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Beclometason/Formoterol/Glycopyrronium** (Trimbow, Chiesi) zur Erhaltungstherapie bei erwachsenen Patienten mit Asthma, die mit einer Kombination aus einem langwirksamen Beta-2-Agonisten und einem mittel- bzw. hochdosierten inhalativen Glucocorticoid nicht ausreichend eingestellt sind und bei denen im vergangenen Jahr mindestens eine Asthma-Exazerbation aufgetreten ist: Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*
Mitteilung des G-BA vom 5.8.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Esketamin** (Spravato, Janssen-Cilag):*

- Als akute Kurzzeitbehandlung bei Erwachsenen mit einer mittelgradigen bis schweren Episode einer Major Depression zur schnellen Reduktion depressiver Symptome, die nach ärztlichem Ermessen einem psychiatrischen Notfall entsprechen: Es besteht ein Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen. Zweckmäßige Vergleichstherapien sind Krisenintervention/Psychotherapie, medikamentöse Akuttherapie zur Behandlung von Angst, Schlaflosigkeit, psychotischer Symptome, Unruhe sowie Einleiten einer adäquaten antidepressiven Medikation bzw. Optimierung der bestehenden Medikation, und die elektrokonvulsive Therapie.
- Anwendung in Kombination mit einem SSRI oder SNRI bei Erwachsenen mit therapieresistenter Major Depression, die in der aktuellen mittelgradigen bis schweren depressiven Episode auf mindestens zwei unterschiedliche Therapien mit Antidepressiva nicht an-

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/>]

gesprachen haben: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt. Zweckmäßige Vergleichstherapien sind Augmentation mit Lithium oder Quetiapin retard, eine Kombination mit einem zweiten Antidepressivum, eine elektrokonvulsive Therapie, ein Wechsel der antidepressiven Monotherapie auf eine andere Substanzklasse.*

Mitteilung des G-BA vom 19.8.2021

Bettina Christine Martini, Legau