

Wichtige Mitteilungen von EMA und CHMP

Zulassung erfolgt für

- **Cabotegravir** (Vocabria, ViiV Healthcare) zusammen mit dem NNRTI Rilpivirin (Rekambys, Janssen-Cilag) jeweils in parenteraler Form zur Behandlung einer HIV-1-Infektion (siehe Notizen Nr. 12/2020)
- **Baloxavir marboxil** (Xofluza, Roche) für die Behandlung einer unkomplizierten Influenza sowie als Postexpositionsprophylaxe
- **Brexucabtagen autoleucel** (Tecartus, Kite Pharma) für die Therapie von Erwachsenen mit Mantelzell-Lymphom (siehe Notizen Nr. 12/2020)
- **Fenfluramin** (Fintepla, Zogenix ROI) bei Krampfanfällen im Zusammenhang mit dem Dravet-Syndrom (siehe Notizen Nr. 12/2020)
- **Tagraxofusp** (Elzonris, Stemline Therapeutics) bei blastischer plasmazytoider dendritischer Zellneoplasie (BPDCN) (siehe Notizen Nr. 1/2021)
- **Trastuzumab deruxtecan** (Enhertu, Daiichi Sankyo) als Monotherapie bei inoperablem oder metastasiertem HER2-positivem Brustkrebs (siehe Notizen Nr. 2/2021)

Zulassungsempfehlung für Cenobamat (Ontozry, Arvelle Therapeutics): Das Antiepileptikum soll zugelassen werden zur unterstützenden Behandlung von fokal auftretenden Anfällen mit oder ohne sekundäre Generalisierung bei erwachsenen Patienten mit Epilepsie, die trotz Therapie mit mindestens zwei Antiepileptika zuvor nicht ausreichend kontrolliert werden konnten. In den USA wurde Cenobamat bereits Ende 2019 zugelassen, in Deutschland ist die Anwendung bereits im Rahmen eines Härtefallprogramms des BfArM möglich.
Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungsempfehlung und erfolgte bedingte Zulassung (Infokasten) für COVID-19-Impfstoff (Comirnaty, BioNTech/Pfizer). Der mRNA-Impfstoff wurde

zur Prävention von COVID-19, verursacht durch das SARS-CoV-2-Virus bei Personen ab 16 Jahren zugelassen. Der Impfstoff wird nach Verdünnung intramuskulär in einer Impfserie von 2 Dosen (je 0,3 ml) verabreicht. Es wird empfohlen, die zweite Dosis 3 Wochen nach der ersten Dosis zu verabreichen.
Mitteilung der EMA vom 21.12.2020, Mitteilung der EU vom 22.12.2020

Zulassungsempfehlung und erfolgte bedingte Zulassung (Infokasten) für COVID-19-Impfstoff (COVID-19 Vaccine Moderna, Moderna). Der mRNA-Impfstoff ist vorgesehen zur Anwendung bei Personen ab einem Alter von 18 Jahren zur Vorbeugung der Coronavirus-Erkrankung (COVID-19). Er enthält pro Dosis von 0,5 ml 100 Mikrogramm modifizierte mRNA mit dem Bauplan für das in der Präfusionskonformation stabilisierte Spikeprotein des SARS-Coronavirus-2, versetzt mit Lipidnanopartikeln. Vorgesehen sind zwei Impfungen mit dieser Dosis in einem zeitlichen Abstand von 28 Tagen.
Mitteilung der EMA vom 6.1.2021, Mitteilung des Paul-Ehrlich-Instituts vom 6.1.2021

Zulassungsempfehlung zur bedingten Zulassung (Infokasten) für COVID-19-Impfstoff (Covid-19 Vaccine AstraZeneca, AstraZeneca): Der Impfstoff kann angewendet werden zur Prävention von COVID-19 bei Personen ab 18 Jahren. Die Immunisierung besteht aus zwei intramuskulären Injektionen, die mit einem Abstand von 4 bis 12 Wochen erfolgen sollen.
Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungsempfehlung für Icosapent (Vazkepa, Amarin Pharmaceuticals): Der lipidmodifizierende Wirkstoff soll zugelassen werden zur Verringerung des Risikos kardiovaskulärer Ereignisse bei erwachsenen Patienten, die mit CSE-Hemmern behandelt werden und ein hohes kardiovaskuläres Risiko haben sowie deren Triglyzerid-Werte 150 mg/dl oder mehr betragen. Außerdem soll es bei bestehender kardiovaskulärer Erkrankung und bei

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.

Patienten mit Diabetes mellitus und mindestens einem weiteren kardiovaskulären Risikofaktor zugelassen werden.
Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungsempfehlung für Ofatumumab (Kesimpta, Novartis): Der monoklonale gegen CD20 gerichtete Antikörper soll zugelassen werden zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit schubförmiger multipler Sklerose mit aktiver Erkrankung, die durch klinische oder bildgebende Merkmale definiert ist.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungsempfehlung für Pemigatinib (Pemazyre, Incyte Biosciences): Der Proteinkinasehemmer soll zugelassen werden als Monotherapie für die Behandlung von Erwachsenen mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Gallengangskarzinom mit einer Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor-2(FGFR2)-Fusion oder einem FGFR2-Rearrangement, das nach wenigstens einer systemischen Therapie rezidiert oder refraktär ist.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungsempfehlung für Remimazolam (Byfavo, Paion Netherlands): Das ultrakurzwirksame Benzodiazepin-Sedativum soll zur prozeduralen Sedierung bei Erwachsenen zugelassen werden, das heißt zur Anwendung während der Durchführung diagnostischer oder therapeutischer Verfahren.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungsempfehlung für Salmeterol/Fluticason (BroPair Spiromax und Sefalair Spiromax, Teva): Die Kombination des selektiven, langwirksamen inhalativen Beta-2-Adrenozeptor-Agonisten und des inhalierbaren Glucocorticoids Fluticason soll zur regelmäßigen Behandlung von Asthma bronchiale bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren zugelassen werden, bei denen die Erkrankung mit inhalativen Glucocorticoiden und inhalativen kurzwirksamen Beta-2-Agonisten „bei Bedarf“ nicht ausreichend kontrollierbar ist.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungsempfehlung für Selinexor (Nexpovio, Karyopharm): Das neue orale Krebsmittel soll zugelassen werden in

Kombination mit Dexamethason zur Behandlung des multiplen Myeloms bei intensiv vorbehandelten erwachsenen Patienten. Die Patienten müssen mindestens vier vorangegangene Therapien erhalten haben und die Erkrankung gegenüber mindestens zwei Proteasom-Inhibitoren, zwei immunmodulatorischen Wirkstoffen und einem monoklonalen Anti-CD38-Antikörper refraktär sein. Zudem muss die Erkrankung unter der letzten Therapie fortgeschritten sein.

Selinexor ist das erste Arzneimittel einer neuen Wirkstoffklasse. Die Substanz ist ein reversibler kovalenter selektiver Inhibitor des Kernexports (SINE), der spezifisch Exportin 1 (XPO1) blockiert. XPO1 ist ein wesentlicher Mediator des nukleären Exports vieler Proteine, darunter auch Tumorsuppressorproteine (TSP), Wachstumsregulatoren und mRNA von wachstumsfördernden (onkogenen) Proteinen.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungsempfehlung für Somapacitan (Sogroya, Novo Nordisk): Der Somatropin-Agonist soll für den Ersatz des endogenen Wachstumshormons (GH) bei Erwachsenen mit Wachstumshormonmangel (AGHD) zugelassen werden.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungserweiterung für Bedaquilin (Sirturo, Janssen-Cilag) *empfohlen*: Zukünftig kann Bedaquilin auch bei Kindern ab 5 Jahren im Rahmen eines Kombinationsregimes zur Behandlung einer pulmonalen multiresistenten Tuberkulose eingesetzt werden, bisher war die Anwendung bei Kindern ab 12 Jahren zugelassen.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Zulassungserweiterung für Cholera-Impfstoff (Vaxchora, Emergent Netherlands) *empfohlen*: Die Vakzine zur Immunisierung gegen Infektionen verursacht durch *Vibrio cholerae* der Serogruppe 01 soll zukünftig auch bei Kindern ab zwei Jahren zugelassen werden, bisher war die Zulassung auf die Anwendung bei Kindern ab 6 Jahren begrenzt.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Infokasten

Eine bedingte Zulassung ist die Zulassung eines Arzneimittels, für das noch nicht alle für eine normale Zulassung erforderlichen Daten vorliegen. Eine solche bedingte Zulassung kann dann erwogen werden, wenn der Nutzen der sofortigen Verfügbarkeit des Arzneimittels die Risiken im Zusammenhang mit der unvollständigen Datenlage deutlich überwiegt. Die Unternehmen müssen allerdings nach der Erteilung einer bedingten Zulassung innerhalb bestimmter Fristen weitere Daten vorlegen, zum Beispiel aus laufenden oder neuen Studien, um zu belegen, dass der Nutzen die Risiken nach wie vor überwiegt.

[https://ec.europa.eu/germany/news/20201222-impfstoff-zulassung_de]

Zulassungserweiterung für Pembrolizumab (Keytruda, MSD) *empfohlen*: Der Checkpoint-Inhibitor soll zukünftig auch bei pädiatrischen Patienten ab 3 Jahren zur Behandlung eines rezidivierenden, refraktären klassischen Hodgkin-Lymphoms nach Versagen einer autologen Stammzelltransplantation oder nach zwei vorangegangenen Therapien, wenn eine autologe Stammzelltransplantation nicht möglich ist, zugelassen werden. Bisher war die Anwendung beim Hodgkin-Lymphom auf erwachsene Patienten beschränkt.

Mitteilung der EMA vom 29.1.2021

Wichtige Mitteilungen der FDA

Zulassung für Relugolix (Orgovyx, Myovant Sciences): Der GnRH-Antagonist wurde zugelassen zur Anwendung bei erwachsenen Patienten mit fortgeschrittenem Prostatakarzinom.

Mitteilung der FDA vom 18.12.2020

Zulassung für Osimertinib (Tagrisso, AstraZeneca): zugelassen als adjuvante Erstlinientherapie für Patienten mit nicht-kleinzelligem Bronchialkarzinom (NSCLC) bei Vorliegen einer spezifischen genetischen Mutation, genauer einer aktivierenden Mutation des EGFR (Epidermal

Growth Factor Receptor). Die Zulassung erfolgte mit „Orphan-Drug“ und „Break-through-Therapy“-Status.

Mitteilung der FDA vom 18.12.2020

Wichtige Mitteilungen der AkdÄ und des BfArM

Information zu Glucosesensor Dexcom G6 zum Thema Hautreaktionen: Seit wenigen Jahren stehen für Menschen mit Diabetes mellitus Systeme zum kontinuierlichen Glucose-Monitoring (CGM) zur Verfügung, bei denen ein Sensor den Glucose-Gehalt in der interstitiellen Flüssigkeit misst. Zu unterscheiden sind Real-time-CGM-Systeme, bei denen Messwerte automatisch an das Empfängergerät übertragen werden (rtCGM) und Systeme, bei welchen ein intermittierendes Scannen erforderlich ist (iscCGM). Bei Verwendung dieser Systeme können kapilläre Blutzuckerbestimmungen auf ein Minimum reduziert werden. Die Sensoren der rtCGM-Systeme (Dexcom G6, Guardian Connect, Freestyle Libre 2) und iscCGM-Systeme (Freestyle Libre 1) werden auf der Haut platziert, mit einem integrierten Pflaster fixiert und verfügen an der Unterseite über einen dünnen Sensorfaden, der mittels einer Einstichnadel ins subkutane Fettgewebe eingeführt wird. Die AkdÄ informierte 2018 über das Risiko von Kontaktallergien im Zusammenhang mit dem Sensor des FreeStyle Libre 1 iscCGM-Systems. Nun liegen der AkdÄ und in der Literatur erste Berichte von entzündlichen Hautreaktionen auch im Zusammenhang mit dem Dexcom G6-CGM-System vor. Diesen könnte eine allergische, aber auch eine irritative Reaktion zugrunde liegen. Unterschiedlich ausgeprägte Symptome wie Hautrötung, Juckreiz und Bläschenbildung im Bereich des Pflasters wurden beobachtet. Zwar wurden bereits verschiedene Allergene in Sensorsystemen identifiziert, die genaue Zusammensetzung der in den Sensoren verwendeten Materialien (z. B. von Klebern) ist jedoch nicht bekannt. Daher kann bei derartigen Hautreaktionen der-

zeit weder eine gezielte Allergietestung erfolgen noch vorher abgeschätzt werden, ob ein Wechsel zu einem anderen Sensorsystem zielführend ist. Es ist dringend zu fordern, dass der Ärzteschaft die genaue Zusammensetzung der Materialien mitgeteilt wird, damit bei Hautreaktionen eine sachgerechte Diagnostik erfolgen kann. Um die Häufigkeit von Hautreaktionen und die Dringlichkeit von Maßnahmen abschätzen zu können, bitten wir um Meldung von Fällen, bei denen im Zusammenhang mit dem Dexcom G6-CGM-Sensor und anderen Glucose-Sensoren Hautreaktionen aufgetreten sind. Da es sich hierbei um Medizinprodukte handelt, sollten die Meldungen als „Vorkommismeldung“ an das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) gesendet werden. Das entsprechende Online-Meldeformular ist auf der Seite des BfArM zu finden.

AkdÄ Drug Safety Mail Nr. 03 vom 29.1.2021

Mitteilung zur Nutzenbewertung des IQWiG

Filgotinib (Jyseleca, Gilead) bei Erwachsenen mit mittelschwerer bis schwerer aktiver rheumatoider Arthritis, die auf ein oder mehrere DMARDs unzureichend angesprochen oder diese nicht vertragen haben:

- Wenn eine erstmalige Therapie mit bDMARDs bzw. tsDMARDs angezeigt ist, besteht für die Anwendung in Kombination mit MTX ein **Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen**.
- In allen übrigen Konstellationen ist ein **Zusatznutzen nicht belegt**.

Mitteilung des IQWiG vom 15.1.2021

Durvalumab (Imfinzi, AstraZeneca) in der Erstlinienbehandlung Erwachsener mit kleinzelligem Lungenkarzinom im fortgeschrittenen Stadium (ES-SCLC): Für Männer besteht ein **Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen**, für Frauen besteht ein **Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren, maximal beträchtlichen Zusatznutzen**.

Mitteilung des IQWiG vom 4.1.2021

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/>]

Ibrutinib (Imbruvica, Janssen-Cilag) bei Erwachsenen mit nicht vorbehandelter chronischer lymphatischer Leukämie (CLL):

- Für Betroffene in gutem Allgemeinzustand, für die eine Therapie mit Fludarabin plus Cyclophosphamid plus Rituximab infrage kommt, besteht ein **Hinweis auf einen erheblichen Zusatznutzen**.
- In allen anderen Fragestellungen ist ein **Zusatznutzen nicht belegt**.

Mitteilung des IQWiG vom 4.1.2021

Ixekizumab (Taltz, Lilly) bei Kindern ab 6 Jahren und Jugendlichen (Gewicht mindestens 25 kg) mit mittelschwerer bis schwerer Plaque-Psoriasis, für die eine systemische Therapie infrage kommt: Die Übertragung des Zusatznutzens von Erwachsenen wird als nicht sachgerecht angesehen, daher ist ein **Zusatznutzen nicht belegt**.

Mitteilung des IQWiG vom 26.1.2021

Ozanimod (Zeposia, Celgene) bei Erwachsenen mit schubförmig remittierender multipler Sklerose (Addendum):

- Therapienaive Betroffene oder solche, deren Erkrankung unter krankheitsmodifizierender Therapie nicht hochaktiv ist: Es besteht unverändert ein **Beleg für einen beträchtlichen Zusatznutzen**.
- Bei Patienten mit hochaktiver Erkrankung trotz Therapie, für die ein Wechsel innerhalb der Basistherapie infrage kommt, besteht **für Männer nunmehr**

ein Beleg für einen erheblichen, für Frauen ein Beleg für einen beträchtlichen Zusatznutzen.

Mitteilung des IQWiG vom 7.1.2021

Sofosbuvir/Velpatasvir (Epclusa, Gilead) bei Kindern und Jugendlichen von 6 bis < 18 Jahren (Körpergewicht mindestens 17 kg) mit chronischer Hepatitis C: Bei 6- bis 11-Jährigen mit Genotyp 1 oder 3 besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen.*

Bei Älteren sowie anderen Genotypen ist ein *Zusatznutzen nicht belegt.*

Mitteilung des IQWiG vom 4.1.2021

G-BA Entscheidungen zum Zusatznutzen

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Caplacizumab** (Cablivi, Sano-fi-Aventis) bei dem neuen Anwendungsgebiet „zur Behandlung von Jugendlichen ab 12 Jahren und einem Körpergewicht von mindestens 40 kg, die an einer Episode von erworbener thrombotisch-thrombozytopenischer Purpura (acquired thrombotic thrombocytopenic purpura, aTTP) leiden, in Verbindung mit Plasmapherese und Immunsuppression“: Caplacizumab ist zugelassen zur Behandlung eines seltenen Leidens, womit der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt gilt. Es besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen*, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.*

Mitteilung des G-BA vom 7.1.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Encorafenib** (Braftovi, Pierre Fabre Pharma) bei dem neuen Anwendungsgebiet „in Kombination mit Cetuximab zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit metastasiertem Kolorektalkarzinom mit einer BRAF-V600E-Mutation, die eine systemische Vortherapie erhalten haben“: Es besteht ein *Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen.* (siehe Notizen Nr. 12/2020)*

Mitteilung des G-BA vom 17.12.2020

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Fostamatinib** (Tavlesse, Grifols Deutschland) zur Behandlung der chronischen Immuntrombozytopenie (ITP) bei erwachsenen Patienten, die gegenüber anderen Behandlungsarten therapieresistent sind: Ein *Zusatznutzen ist nicht belegt* gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie mit Eltrombopag oder Romiplostim.*

(siehe Notizen Nr. 12/2020)

Mitteilung des G-BA vom 17.12.2020

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Ivacaftor** (Kalydeco, Vertex Pharmaceuticals) bei dem neuen Anwendungsgebiet „Patienten ab 6 Monaten bis < 18 Jahre mit zystischer Fibrose, die eine R117H-CFTR-Mutation aufweisen“: Sowohl bei Patienten ab 6 Monaten bis 6 Jahren als auch bei Patienten ab 6 Jahren bis 18 Jahren besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen* gegenüber Best Supportive Care. (siehe Notizen Nr. 12/2020)*

Mitteilung des G-BA vom 17.12.2020

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Ixekizumab** (Taltz, Lilly) bei dem neuen Anwendungsgebiet „axiale Spondyloarthritis“:*

- Erwachsene Patienten mit aktiver röntgenologischer axialer Spondyloarthritis, die auf eine konventionelle Therapie unzureichend angesprochen haben: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*
- Erwachsene Patienten mit aktiver röntgenologischer axialer Spondyloarthritis, die auf eine vorhergehende Therapie mit biologischen Antirheumatika (bDMARD) unzureichend angesprochen haben oder bei denen eine Unverträglichkeit gegenüber dieser vorliegt: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.*

(siehe Notizen Nr. 1/2021)

Mitteilung des G-BA vom 21.1.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Ledipasvir/Sofosbuvir** (Harvoni, Gilead) bei dem neuen Anwendungsgebiet bei „Kindern ab einem Alter von 3 bis 12 Jahren zur Behandlung*

der chronischen Hepatitis C“ (siehe auch Seite 129):

- Für Infektionen mit den Genotypen 1, 4, 5 oder 6 besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen* gegenüber beobachtendem Abwarten.
- Für Infektionen mit den Genotyp 3 ist ein *Zusatznutzen* gegenüber beobachtendem Abwarten *nicht belegt.*

(siehe Notizen Nr. 1/2021)

Mitteilung des G-BA vom 21.1.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Luspatercept** (Reblozyl, Celgene) zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind: Luspatercept ist zugelassen zur Behandlung eines seltenen Leidens, womit der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt gilt. Es besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen*, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.*

Mitteilung des G-BA vom 21.1.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Luspatercept** (Reblozyl, Celgene) für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist: Luspatercept ist zugelassen zur Behandlung eines seltenen Leidens, womit der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt gilt. Es besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen*, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.*

Mitteilung des G-BA vom 21.1.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Osilodrostat** (Isturisa, Recordati Rare Diseases Germany GmbH) zur Behandlung des endogenen Cushing-Syn-*

droms bei Erwachsenen: Osilodrostat ist zugelassen zur Behandlung eines seltenen Leidens, womit der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt gilt. Es besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen*.

Mitteilung des G-BA vom 7.1.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Ozanimod** (Zeposia, Celgene GmbH) bei erwachsenen Patienten mit schubförmig remittierender multipler Sklerose mit aktiver Erkrankung, definiert durch klinische oder bildgebende Befunde:*

- Patienten mit aktiver Erkrankung, die bislang noch keine krankheitsmodifizierende Therapie erhalten haben oder mit krankheitsmodifizierender Therapie vorbehandelte erwachsene Patienten, deren Erkrankung nicht hochaktiv ist: *Hinweis für einen geringen Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie* mit Interferon beta-1a oder Interferon beta-1b oder Glatirameracetat oder Ocrelizumab unter Berücksichtigung der Zulassung.
- Patienten mit hochaktiver Erkrankung trotz Behandlung mit einer krankheitsmodifizierenden Therapie: *Ein Zusatznutzen ist nicht belegt*. Zweck-

mäßige Vergleichstherapien sind Alemtuzumab oder Fingolimod oder Natalizumab.

(siehe Notizen Nr. 12/2020)

Mitteilung des G-BA vom 7.1.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Ravulizumab** (Ultomiris, Alexion Pharma) bei dem neuen Anwendungsgebiet „bei Patienten ab einem Körpergewicht von 10 kg mit atypischem hämolytisch-urämischem Syndrom, die zuvor nicht mit Komplementinhibitoren behandelt worden waren oder Eculizumab mindestens 3 Monate lang erhalten und nachweislich auf Eculizumab angesprochen haben“: Ein Zusatznutzen gegenüber Eculizumab ist nicht belegt.*

Mitteilung des G-BA vom 21.1.2021

*Bewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Sofosbuvir** (Sovaldi, Gilead Sciences) bei dem neuen Anwendungsgebiet „in Kombination mit anderen Arzneimitteln zur Behandlung der chronischen Hepatitis C bei Kindern von 3 bis 12 Jahren“ (siehe auch Seite 129): Es besteht ein *Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen*. (siehe Notizen Nr. 1/2021)*

Mitteilung des G-BA vom 21.1.2021

*Neubewertung ggü. zweckmäßiger Vergleichstherapie für **Tezacaftor/Ivacaftor** (Symkevi, Vertex Pharmaceuticals) nach Überschreitung der 50-Millionen-Euro-Grenze eines Orphan-Drugs als Kombinationsbehandlung der zystischen Fibrose (CF) bei Patienten ab 12 Jahren, mit F508del-Mutation und einer der folgenden Mutationen im CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator): P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272–26A→G und 3849+10kbC→T:*

- Bei Patienten, die homozygot für die F508del-Mutation sind, ist ein *Zusatznutzen nicht belegt* gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Lumacaftor/Ivacaftor.
- Bei Patienten, die heterozygot für die F508del-Mutation sind, ist ein *Zusatznutzen nicht belegt* gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Best supportive Care.

(siehe Notizen Nr. 12/2020)

Mitteilung des G-BA vom 17.12.2020

Bettina Christine Martini, Legau