

## EMA Zulassungsempfehlungen 2020 bis April 2021 (neue Wirkstoffe für Medikamente) – Teil 1

| Firma                                  | Handelsname              | Wirkstoffe                                  | Indikationen (zu behandelnde Krankheiten)  | Zulassungsdatum   | Format           | Orphan Drug | Prime (hohe Priorität) |
|--|--------------------------|---|--|-------------------|------------------|-------------|------------------------|
| <b>Onkologie</b>                       |                          |   |  |                   |                  |             |                        |
| Blueprint Medicines                    | <b>Ayvakyt</b>           | Avapritinib                                 | metastasierende gastrointestinale Stromatumore, Weichteilkarzinome im Magen und Dünndarm, entstehen aus Nervenzellen in Magen/Darmwand   | 24.09.2020        | Tablette         | ✓           | nein                   |
| GlaxoSmithKline                        | <b>Blenrep</b>           | Belantamab-Mafodotin                        | Multiples Myelom (Knochenmarkkrebs), Therapieresistenz oder Rückfall   | 25.08.2020        | Injektion        | ✓           | ✓                      |
| Pfizer                                 | <b>Daurismo</b>          | Glasdegib                                   | Akute myeloische Leukämie  | 26.06.2020        | Tablette         | ✓           | nein                   |
| Daiichi Sankyo/Astra Zeneca            | <b>Enhertu</b>           | Trastuzumab-Deruxtecan                      | HER2-positiver inoperabler oder metastasenbildender Brustkrebs, wenn mind. 2 Vorbehandlungen gegen HER2  | <b>18.01.2021</b> | Infusion         | nein        | nein                   |
| Bayer                                  | <b>Nubeqa</b>            | Darolutamid                                 | kastrationsresistenter Prostatakrebs mit Metastasenrisiko  | 27.03.2020        | Tablette         | nein        | nein                   |
| Genentech, gehört zu Roche             | <b>Phesgo</b>            | Pertuzumab, Trastuzumab, Hyaluronidase-zzxf | HER-2-positiver Brustkrebs frühes Stadium und Metastasen bildend   | 21.12.2020        | Injektionslösung | nein        | nein                   |
| Eli Lilly                              | <b>Retsevmo</b>          | Selpercatinib                               | Fortgeschrittenes RET-Fusions-positives nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC), das systemische Therapie nach Chemo- oder Immunotherapie benötigt; fortgeschrittenes RET-Fusions-positives Schilddrüsenkarzinom, das systemische Therapie nach Behandlung mit Sorafenib und/oder Lenvatinib benötigt | <b>11.02.2021</b> | Kapsel           | nein        | nein                   |
| Roche                                  | <b>Rozlytrek</b>         | Entrectinib                                 | Bei bestimmten Genveränderungen im Tumorgewebe; NTRK- Genfusions-positiven soliden Tumoren und ROS1-positivem nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom   | 31.07.2020        | Kapsel           | nein        | ✓                      |
| Sanofi                                 | <b>Sarclisa</b>          | Isatuximab                                  | rezidierten u. refraktären Multiples Myelom bei Erwachsenen, die mind. 2 Therapien, darunter Lenalidomid und einen Proteasom-Inhibitor (PI), erhielten u. trotzdem Krankheitsprogression zeigten   | 30.05.2020        | Infusion         | ✓           | nein                   |
| Gilead Sciences                        | <b>Tecartus</b>          | Brexucabtagen Autoleucel                    | wiederkehrend hartnäckige Mantelzell-Lymphome  | 15.12.2020        | Infusion         | ✓           | ✓                      |
| Seagen                                 | <b>Tukysa</b>            | Tucatinib                                   | Erwachsene mit fortgeschrittenen, inoperablen oder metastasen-bildenden HER2-positiven Brustkrebs, Teil von Medikamenten-Cocktail  | <b>11.02.2021</b> | Tablette         | nein        | nein                   |
| <b>Hämatologie/Hämostaseologie</b>     |                          |   |  |                   |                  |             |                        |
| Novartis                               | <b>Adakveo</b>           | Crizanlizumab                               | wiederkehrende schmerzhafte Krisen bei Sichelzellerkrankheit   | 28.10.2020        | Infusion         | ✓           | nein                   |
| Astra Zeneca                           | <b>Calquence</b>         | INN-acalabrutinib                           | maximal einmal vorbehandelte chronische lymphatische Leukämie  | 05.11.2020        | Kapsel           | nein        | nein                   |
| Stemline Therapeutics                  | <b>Elzonris</b>          | Tagraxofusp                                 | erwachsene Patienten mit blastischer plasmazytoider dendritischer Zellneoplasie  | <b>07.01.2021</b> | Infusion         | ✓           | nein                   |
| Celgene gehört zu Bristol Myers-Squibb | <b>Inrebic</b>           | Fedratinib                                  | für Erwachsene mit Myelofibrose (Veränderung d. Stammzellen im Knochenmark, Leukämie-Vorstufe), wenn Milz vergrößert ist oder andere krankheitsbedingte Symptome   | <b>08.02.2021</b> | Kapsel           | ✓           | nein                   |
| Astra Zeneca                           | <b>Lumoxiti</b>          | Moxetumomab Pasudotox                       | Erwachsene mit wiederkehrender oder hartnäckiger Haarzellleukämie, die zuvor mind. 2 systemische Therapien, darunter mit PNA erhielten.  | <b>08.02.2021</b> | Infusion         | ✓           | nein                   |
| <b>Pneumologie/Allergologie</b>        |                          |   |  |                   |                  |             |                        |
| Vertex                                 | <b>Kraftrio</b>          | Tezacaftor, Elexacaftor und Ivacaftor       | Mukoviszidose (angeborene Stoffwechselerkrankung wegen Genmutation)  | 21.08.2020        | Tabletten        | ✓           | nein                   |
| <b>Infektionskrankheiten</b>           |                          |   |  |                   |                  |             |                        |
| Myr Pharmaceuticals                    | <b>Hepcludex</b>         | Bulivirtid                                  | Hepatitis Delta  | 31.07.2020        | Injektion        | ✓           | ✓                      |
| Elusys Therapeutics                    | <b>Obiltoxaximab SFL</b> | Obiltoxaximab                               | Lungen-Milzbrand   | 18.11.2020        | Infusion         | ✓           | nein                   |
| Mylan IRE Healthcare                   | <b>Dovprela</b>          | Pretomanid                                  | in Kombination mit Bedaquilin u. Linezolid bei extensiv resistenter Tuberkulose; bei Unverträglichkeit der TBC-Behandlung u. multiresistenter Tuberkulose  | 31.07.2020        | Tablette         | ✓           | nein                   |
| ViiV Healthcare (gehört zu GSK)*       | <b>Rukobia</b>           | Fostemsavir                                 | Multiresistente HIV-1-Infektionen  | <b>04.02.2021</b> | Tablette         | nein        | nein                   |
| ViiV Healthcare (gehört zu GSK)*       | <b>Vocabria</b>          | Cabotegravir                                | HIV-1-Infektionen, wenn unter Kontrolle, gemeinsam mit Rilpivirin  | 17.12.2020        | Injektion        | nein        | nein                   |
| Nabriva Therapeutics                   | <b>Xenleta</b>           | Lefamulin                                   | ambulant erworbene Pneumonie, wenn empfohlene antibakterielle Mittel nicht passen oder wirken  | 27.07.2020        | Tablette         | nein        | nein                   |
| Genentech, gehört zu Roche             | <b>Xofluza</b>           | Baloxavir                                   | Influenza  | <b>07.01.2021</b> | Tablette         | nein        | nein                   |
| <b>Endokrinologie</b>                  |                          |   |  |                   |                  |             |                        |
| Alnylam Pharmaceuticals                | <b>Givlaari</b>          | Givosiran                                   | Porphyrie, seltene genetische Stoffwechselerkrankung   | 02.03.2020        | Injektion        | ✓           | ✓                      |
| <b>Impfungen</b>                       |                          |   |  |                   |                  |             |                        |
| Janssen-Cilag                          | <b>Mvabea</b>            | MVA-NN-Filo                                 | Ebola-Impfstoff  | 01.07.2020        | Injektion        | nein        | nein                   |
| Sanofi                                 | <b>Supemtek</b>          |   | Grippeimpfstoff, enthält diverse Virus-Hämagglutinin-(HA)Proteine  | 16.11.2020        | Injektion        | nein        | nein                   |
| Pax Vax                                | <b>Vaxchora</b>          |   | Cholera-Impfstoff  | 01.04.2020        | oral             | nein        | nein                   |
| Janssen-Cilag                          | <b>Zabdeno</b>           | Ad26.ZEBOV-GP                               | Ebola-Impfstoff  | 01.07.2020        | Injektion        | nein        | nein                   |

Rot markiert: Zulassung 2021; \*) GlaxoSmithKline

## EMA Zulassungsempfehlungen 2020 bis April 2021 (neue Wirkstoffe für Medikamente) – Teil 2

| Firma  | Handelsname      | Wirkstoffe                    | Indikationen (zu behandelnde Krankheiten)  | Zulassungsdatum | Format    | Orphan Drug | Prime (hohe Priorität) |
|--|------------------|-------------------------------|--|-----------------|-----------|-------------|------------------------|
| <b>Immunologie/Rheumatologie/Transplantation</b> |                  |                               |  |                 |           |             |                        |
| Hansa Biopharma                                  | <b>Idefirix</b>  | Imlifidase                    | soll Abstoßung kürzlich transplantierte Niere vermeiden  | 25.08.2020      | Infusion  | ✓           | ✓                      |
| Gilead Sciences                                  | <b>Jyseleca</b>  | Filgotinib                    | Behandlung Erwachsener mit rheumatoider Arthritis  | 24.09.2020      | Tabletten | nein        | nein                   |
| <b>Neurologie</b>                                |                  |                               |  |                 |           |             |                        |
| Orchard Therapeutics                             | <b>Libmeldy</b>  | Gentherapie                   | Kinder mit metachromatischer Leukodystrophie, seltene Erbkrankheit, Genmutation mit Folge der Sulfatide-Anreicherung, die Nervensystem u. andere Organe schädigt; geistiger Abbau u. Schwierigkeiten beim Laufen | 17.12.2020      | Injektion | ✓           | nein                   |
| Novartis   | <b>Zolgensma</b> | Onasemnogene Apeparvovec-xioi | Gentherapie für Kinder mit Spinaler Muskelatrophie; mit ca. 2 Mio. EUR pro Spritze teuerstes Medikament der Welt   | 18.05.2020      | Injektion | ✓           | ✓                      |
| <b>Covid-19</b>                                  |                  |                               |  |                 |           |             |                        |
| Biontech/Pfizer                                  | <b>Comirnaty</b> | BNT162b2                      | mRNA basierter Corona-Impfstoff, derzeit besonders begehrt!  | 21.12.2020      | Injektion | nein        | nein                   |
| Gilead Sciences                                  | <b>Veklury</b>   | Remdesivir                    | Behandlung von Covid-19  | 03.07.2020      | Infusion  | nein        | nein                   |
| <b>Metabolismus</b>                              |                  |                               |  |                 |           |             |                        |
| Daiichi Sankyo                                   | <b>Nilmedo</b>   | Bempedoinsäure                | Cholesterinsenker  | 01.04.2020      | Tabletten | nein        | nein                   |
| Daiichi Sankyo                                   | <b>Nustendi</b>  | Bempedoinsäure/Ezetimib       | senkt Spiegel des „schlechten“ Cholesterins (LDL-Cholesterin)  | 27.03.2020      | Tabletten | nein        | nein                   |
| <b>Uro-nephrologie</b>                           |                  |                               |  |                 |           |             |                        |
| Alnylam Pharmaceuticals                          | <b>Oxlumo</b>    | Lumasiran                     | behandelt primäre Hyperoxalurie Typ 1; seltene Erkrankung der Harnwege und Nieren; auf ein Enzymdefizit zurückzuführen   | 19.11.2020      | Injektion | ✓           | ✓                      |
| <b>Dermatologie</b>                              |                  |                               |  |                 |           |             |                        |
| Pfizer   | <b>Staquis</b>   | Crisaborol                    | leichte bis mittelschwere atopische Dermatitis   | 27.03.2020      | Salbe     | nein        | nein                   |

Quellen EMA, Europäische Kommission, diverse Online-Publikationen