

## **Neue Krebsmedikamente im EU-Zulassungsverfahren sowie zugelassene Krebsmedikamente, die noch nicht auf den deutschen Markt gebracht wurden (ohne Biosimilars)**

28. Oktober 2019, R. Hömke, vfa

Diese Liste enthält in die Zukunft gerichtete Aussagen, die auf den gegenwärtigen Annahmen und Prognosen derjenigen Unternehmen beruhen, deren Projekte genannt werden. Verschiedene bekannte wie auch unbekannt Risiken, Ungewissheiten und anderer Faktoren können dazu führen, dass der tatsächliche Fortgang dieser Projekte wesentlich von der hier gegebenen Einschätzung abweicht, was auch das Einstellen der Projekte einschließt. Der vfa und seine Mitgliedsunternehmen übernehmen keinerlei Verpflichtung, solche zukunftsgerichteten Aussagen fortzuschreiben und an zukünftige Ereignisse oder Entwicklung anzupassen. Die Liste erhebt auch keinen Anspruch auf Vollständigkeit.

Zudem enthält die Liste keine Biosimilars (also Nachbildungen von Original-Biopharmazeutika, deren Patentschutz abgelaufen ist).

Dass ein Medikament in dieser Liste steht, bedeutet keine Aussage darüber, ob es zugelassen wird, wie schnell es zugelassen wird, ob es nach der Zulassung in Deutschland auf den Markt gebracht werden wird und wenn ja, wie schnell das geschehen wird.

Ein Krebsmedikament wird in vielen Studien mit Gesunden und Patienten erprobt (Phase I: mit wenigen Gesunden oder Patienten; Phase II: mit wenigen Kranken; Phase III: mit vielen Kranken). Wenn es sich hier bewährt, beantragt der Hersteller die Zulassung für die EU.

Während des Zulassungsverfahrens prüft die EU-Zulassungsbehörde EMA alle eingereichten Ergebnisse; ein Expertengremium (CHMP genannt) gibt schließlich eine Empfehlung darüber ab, ob das Medikament zugelassen werden sollte oder nicht (die „positive opinion“ oder „negative opinion“). Rund drei Monate später entscheidet dann die EU-Kommission über die Zulassung, die in allen EU-Mitgliedstaaten sowie einigen assoziierten Ländern wie Norwegen oder Vatikan gilt. Fast immer folgt die Kommission der „positive opinion“.

Die vorliegende Tabelle folgt in ihrer Gliederung der geschilderten Abfolge, ist jedoch rückwärts sortiert. Schon zugelassene Medikamente stehen ganz vorn, gefolgt von Medikamenten mit Zulassungsempfehlung usw. Anhand der Farbhinterlegung sind zu unterscheiden:

Medikament ist zugelassen, aber noch nicht auf dem Markt

EU-Zulassung beantragt; „Positive Opinion“ erteilt

EU-Zulassung beantragt; noch keine „Positive Opinion“

Seite 2/7

### **Medikament zugelassen, aber noch nicht a. d. Markt**

#### **Diagnostikum für Gliome (Wirkstoff: Fluciclovin (<sup>18</sup>F))**

= Axumin<sup>®</sup> von Blue Earth Diagnostics

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Erkennung von wiederkehrender Tumoraktivität mittels PET
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- Zulassung in der EU und in den USA im Dezember 2015 beantragt
- Positive CHMP-Opinion am 23. März 2017
- **EU-Zulassung** am **22. Mai 2017**

#### **Medikament gegen Brustkrebs (Wirkstoff: Neratinib)**

= Nerlynx<sup>®</sup> von Puma Biotechnology

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff hemmt mehrere Kinasen in Tumorzellen
- zur adjuvanten Behandlung von vorbehandelten Patientinnen mit Brustkrebs im Frühstadium, der HER2-positiv ist
- **personalisierter Ansatz**: Vortest auf HER2-Status vor Therapie erforderlich
- EU-Zulassung im Juni 2016 beantragt
- US-Zulassung am 17. Juli 2017
- Positive Opinion des CHMP im Juni 2018 (nach zunächst negativem Votum im Februar 2018)
- **EU-Zulassung** am **31. August 2018**

**Medikament gegen die Krebserkrankungen Mycosis fungoides (MF) und Sézary-Syndrom (SS)<sup>1</sup> (Wirkstoff: Mogamulizumab) = Poteligeo® von Kyowa Kirin**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist gegen den CC Chemokin-Rezeptor 4 (CCR4) gerichtet
- **Orphan-Status** in der EU
- In Japan seit 2012 im Markt
- Zulassungsantrag in der EU im Oktober 2017 eingereicht
- Positive Opinion des CHMP im September 2018
- **EU-Zulassung am 22. November 2018**

**Medikament gegen Brustkrebs (Wirkstoff: Talazoparib) = Talzenna® von Pfizer**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein oraler PARP-1 und -2-Hemmer
- personalisierter Ansatz: Einsatz gegen gBRCAm-mutierten, HER2-negativen Brustkrebs
- US-Zulassung am 16. Okt. 2018
- EU-Zulassungsantrag **im Mai 2018 eingereicht**
- **Positive Opinion des CHMP am 26. April 2019**
- **EU-Zulassung am 20. Juni 2019**

**EU-Zulassung beantragt; Positive Opinion erteilt**

**Medikament gegen akute myeloische Leukämie (Wirkstoff: Gilteritinib) = Xospata® von Astellas**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein FLT3-Antagonist und ein Axl-Rezeptor-Kinase-Hemmer
- Wirkstoff ist gegen FLT3mut+ gerichtet – **personalisierter Ansatz**
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- US-Zulassung am 28. Nov. 2018
- EU-Zulassungsantrag im **Februar 2019** eingereicht; beschleunigte Zulassung
- **Positive Opinion** des CHMP am **20. September 2019**

---

<sup>1</sup> Beides sind bestimmte Formen von T-Zell-Lymphomen, die vorwiegend die Haut betreffen. Es sind keine Pilzinfektionen.

## **EU-Zulassung beantragt; noch keine Positive Opinion**

### ***Begleitbehandlung bei hämatopoetischer Stammzell- transplantation bei verschiedenen Formen von Blutkrebs (ATIR-101) = NN von Kiadis***

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**)
- Wirkstoff ist ein T-Zell-basiertes Medikament aus Lymphozyten des Stammzellspenders, der ein enger, „haploidentischer“ Angehöriger des Empfängers sein muss (d.h. Vater, Mutter, Sohn, Tochter oder ggf. Schwester oder Bruder).
- Transplantat wird ex vivo mit Zellen des Empfängers und dem phototoxischen Wirkstoff TH9402 gemischt; letzterer sammelt sich in aktivierten T-Zellen an, die dann durch Bestrahlung mit Licht einer bestimmten Wellenlänge eliminiert werden – Transplantatabstoßung verursachende T-Zellen werden so selektiv vom Transplantat entfernt
- **Orphan-Status** in der EU
- EU-Zulassungsantrag im **Mai 2017** eingereicht

### ***Medikament gegen akute myeloische Leukämie (Wirkstoff: Enasidenib; AG-221) = Idhifa® von Agios Pharmaceuticals***

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein oraler Isocitrat-Dehydrogenase 2-Hemmer
- US-Zulassung im August 2017
- EU-Zulassungsantrag im **Juni 2018** eingereicht

### ***Medikament zur Behandlung der akuten myeloischen Leukämie (Wirkstoff: Quizartinib) = NN® von Ambit Biosciences***

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein FLT3-Kinasehemmer zur Behandlung von AML-Patienten mit FLT3-Überexprimierung – **personalisierter Ansatz**
- EU-Zulassungsantrag im **Oktober 2018** eingereicht (beschleunigtes Zulassungsverfahren)
- **EU-Zulassung nicht empfohlen im Oktober 2019; jedoch besteht die Möglichkeit zum Einspruch**

**Medikament zur Behandlung des Multiplen Myeloms (Wirkstoff: Selinexor) = XPovio® von Karyopharm**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Hemmer des Exportin1-Proteins, das den Transfer von Proteinen aus dem Zellkern ins Zytoplasma der Zelle reguliert
- **Orphan Drug**-Status
- US-Zulassung im Juli 2018 beantragt
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2019** eingereicht
- US-Zulassung am 3. Juli 2019

**Medikament zur Behandlung von blastischen plasmazytoiden Neoplasien dendritischer Zellen (Wirkstoff: Tagraxofusp) = Elzonris® von Stemline Pharmaceuticals**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Immuncheckpoint-Inhibitor, der die Zytokinrezeptoren für IL-3 blockiert.
- Seltene, aggressive Erkrankung des Knochenmarks und Blutes
- **Orphan Drug**-Status in der EU und den USA
- US-Zulassung im Dezember 2018
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2019** eingereicht; beschleunigtes Zulassungsverfahren

**Medikament gegen diffuses großes B-Zelllymphom (DLBCL) (Wirkstoff: Polatuzumab Vedotin) = NN von Roche**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**), gentechnisch hergestellt
- DLBCL ist die häufigste aggressive Form des Non-Hodgkin Lymphoms
- Beschleunigte Zulassung; PRIME-Status in der EU
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2019** eingereicht

**Medikament gegen Brustkrebs (Wirkstoff: Alpelisib) = NN von Novartis**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein oraler PI3-Kinase-Hemmer gegen Hormonrezeptor-positiven Brustkrebs – **personalisierter Ansatz**
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2019** eingereicht

**Medikament gegen solide Tumore und nicht-kleinzelligen Lungenkrebs (Wirkstoff: Entrectinib) = Rozlytrek von Roche**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Hemmer von ALK und der ROS-Tyrosinkinase
- Einsatz als Kapseln bei Patienten mit NTRK-Fusion in soliden Tumoren bzw. bei Patienten mit ROS1-Fusionen bei nicht-kleinzelligem Lungenkrebs – **personalisierter Ansatz**
- PRIME-Status in der EU
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2019** eingereicht
- US-Zulassung am 15. Aug. 2019

**Medikament gegen akute myeloische Leukämie (Wirkstoff: Ivosidenib) = Tibsovo® von Agios Pharmaceuticals**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Isocitrate dehydrogenase 1 (IDH1)-Inhibitor für Patienten mit einer IDH1-Mutation – **personalisierter Ansatz**
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- **US-Zulassung am 20. Juli 2018**
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2019** eingereicht

**Medikament gegen nicht-metastasierten kastrationsresistenten Prostatakrebs (Wirkstoff: Darolutamid) = Nubeqa® von Orion und Bayer**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein selektiver Androgenrezeptormodulator (SARM)
- US-Zulassung im Februar 2019 beantragt
- EU-Zulassungsantrag im **März 2019** eingereicht; beschleunigtes Verfahren
- US-Zulassung am 30. Juli 2019

**Medikament gegen tenosynoviale Riesenzelltumore (Wirkstoff: Pexidartinib) = Turalio® von Plexxikon (Daiichi Sankyo)**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein c-kit, Flt3 and CSF-1R Inhibitor
- Anwendung als Kapseln
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- EU-Zulassungsantrag im **März 2019** eingereicht

**Medikament gegen akute myeloische Leukämie**

**(Wirkstoff: Glasdegib)** = Daurismo® von Pfizer

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Hemmer des sonic Hedgehog-Signalwegs; der bei Erwachsenen eigentlich inaktiv ist
- in den USA seit Dezember 2018 im Markt
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- EU-Zulassungsantrag im **Mai 2019** eingereicht

**Medikament gegen multiple Myelome (Wirkstoff: Isatuximab) =**

*N.N. von Immunogen / Sanofi*

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein gegen das von Myelomzellen exprimierte Membranprotein CD38 gerichteter monoklonaler Antikörper
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- Zulassungsantrag in der EU im **Juni 2019** gestellt

**Hoch selektiver Tyrosinkinasehemmer gegen Magentumore**

**(Wirkstoff: Avapritinib, früher BLU285)) = N.N von Blueprint Medicines**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (NCE), chemisch hergestellt
- Wirksam gegen Mutationen im KIT- und PDGFR-Rezeptor
- Zur Behandlung auch bereits vorbehandelter Erwachsener mit PDGFRα D842V mutierten gastrointestinalen Stromatumoren (GIST)
- **personalisierter Ansatz**: Vortest auf Mutation vor Therapie erforderlich
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- Zulassungsantrag in der EU im **Aug 2019** gestellt