

Neue Krebsmedikamente im EU-Zulassungsverfahren sowie zugelassene Krebsmedikamente, die noch nicht auf den deutschen Markt gebracht wurden

29. Dezember 2020, 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 andere 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 2/9

Medikament zugelassen, aber noch nicht a. d. Markt

Medikament gegen multiple Myelome (Wirkstoff: Isatuximab) = Sarclisa 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 und den USA im Juni 2019 gestellt
- Positive Opinion des CHMP am 26. März 2020
- **EU-Zulassung am 30. Mai 2020**

EU-Zulassung beantragt; Positive Opinion erteilt

CAR-T-Zelltherapie gegen Mantelzelllymphome (Wirkstoff Brexucabtagen Autoleucel) = Tecartus® von Kite Pharma/Gilead

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff besteht aus autologen peripheren, aus dem Blut gewonnenen CD4+ und CD8+ T-Zellen, bei denen CD3 und CD8 aktiviert sind; diese werden mit einem retroviralen Vektor transduziert, der einen gegen CD19 CD28/CD3-zeta gerichteten chimären Antigenrezeptor exprimiert
- Medikament ist eine Weiterentwicklung von Yescarta®
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- US-Zulassung am 24. Juli 2020
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2020** eingereicht; (PRIME-Status, beschleunigtes Zulassungsverfahren)
- **Positive Opinion** des CHMP am **15. Oktober 2020**

Medikament gegen unresezierbaren, metastasierten, HER2-positiven Brustkrebs (Wirkstoff: Trastuzumab deruxtecan)
= Enhertu® von Daiichi Sankyo und AstraZeneca

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Antikörper-Wirkstoff-Konjugat, das den HER2-Antikörper Trastuzumab über einen spaltbaren Linker mit einem stark zytotoxischen Topoisomerase I-Inhibitor verbindet
- US-Zulassung im Dezember 2019
- EU-Zulassungsantrag im **Juni 2020** gestellt (beschleunigtes Zulassungsverfahren)
- **Positive Opinion** des CHMP am **10. Dezember 2020**

Medikament gegen vorbehandelte Haarzelleukämie (Wirkstoff: Moxetumomab pasudotox) = Lumoxity® von AstraZeneca und Innate Pharma

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein rekombinantes Immunotoxin, das aus einem Fv Antikörperfragment besteht, das mit dem Pseudomonas-Exotoxin PE38 konjugiert und gegen CD22 auf der Tumoroberfläche gerichtet ist (Antikörper-Arzneimittel-Konjugat, ADC)
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- In den USA seit Oktober 2019 im Markt
- EU-Zulassungsantrag eingereicht im **Januar 2020**
- **Positive Opinion** des CHMP am **10. Dezember 2020**

Medikament gegen nicht-kleinzelligen Lungenkrebs (NSCLC) und Schilddrüsenkrebs (Wirkstoff: Selpercatinib) = Retsevmo® von Loxo Oncology (Lilly)

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein hochselektiver RET (rearranged during transfection)-Kinasehemmer
- **personalisierter Ansatz**: Anwendung bei NSCLC und bei Schilddrüsenkrebs mit RET-Fusion sowie medulläre Schilddrüsenkarzinome mit RET-Mutation
- US-Zulassungsantrag im Dezember 2019 eingereicht; dort Breakthrough-Status
- US-Zulassung am 8. Mai 2020
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2020** eingereicht
- **Positive Opinion** des CHMP am **10. Dezember 2020**

**Medikament gegen vorbehandelten HER2-positiven Brustkrebs
(Wirkstoff: Tucatinib) = Tukysa® von Pfizer und Seattle Genetics**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein ErbB-2 Tyrosinkinasehemmer
- Anwendung in Kombination mit Trastuzumab und Capecitabin für lokal fortgeschrittenen nicht-resezierbaren oder metastatischen (inkl. Hirnmetastasen) HER2-positiven Brustkrebs
- **personalisierter Ansatz**
- Wirkstoff außerdem in Entwicklung gegen HER2-positiven Darmkrebs
- US-Zulassungsantrag im Dezember 2019 eingereicht
- US-Zulassung am 17. April 2020 (gemeinsame Bewertung mit Zulassungsbehörden von Australien, Kanada und der Schweiz)
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2020** eingereicht
- **Positive Opinion** des CHMP am **10. Dezember 2020**

**Medikament gegen Myelofibrose (Wirkstoff: Fedratinib) = Inrebic®
von Celgene/BMS**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein selektiver, oraler Hemmer der Januskinase (JAK) 2 und von FMS-ähnlichen Tyrosinkinasen (FLT) 3
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- US-Zulassung im August 2019
- EU-Zulassungsantrag im **Januar 2020** eingereicht
- **Positive Opinion** des CHMP am **10. Dezember 2020**

EU-Zulassung beantragt; noch keine Positive Opinion

**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 gegen akute myeloische Leukämie (Wirkstoff: Ivosedinib) = 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 chronisch lymphatische Leukämie / folliculäre Lymphome (Wirkstoff: Duvelisib) = Copiktra® von Takeda

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff hemmt die Kinasen PI3 delta und gamma
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- in den USA seit Oktober 2018 im Markt
- EU-Zulassungsantrag eingereicht im **November 2019**

Medikament gegen Gallengangskarzinome (Wirkstoff: Pemigatinib) = Pemazyre® von Incyte

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Hemmer der FGFR-Kinasen 1-3; wird gegen intrahepatische Gallengangskarzinome mit einer FGFR2-Fusion oder -Umordnung eingesetzt – **personalisierter Einsatz**
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- US-Zulassung im Oktober 2019 beantragt
- US-Zulassung am 17. April 2020
- EU-Zulassungsantrag eingereicht im **Dezember 2019**

Medikament gegen aktinische Keratose (Wirkstoff: Tirbanibulin mesilat) = N.N. von Almirall

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein oraler, nicht-ATP-kompetitiver Src-Kinasehemmer, der auf die Peptid-Substrat-Bindungsstelle zielt
- außerdem in Phase II gegen verschiedene Krebserkrankungen
- Zulassungsantrag in der EU und den USA im **März 2020** eingereicht

Medikament gegen Neurofibromatose 1 (Wirkstoff: Selumetinib)

= Koselugo® von Array Pharma/AstraZeneca

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein MEK-Hemmer; MEK ist eine Schlüsselprotein-Kinase im RAS/RAF/MEK/ERK-Signalweg, die bei Krebs für die Vermehrung der Zellen eine Rolle spielen
- außerdem in Entwicklung (Phase III) gegen Schilddrüsenkrebs sowie nicht-kleinzelligen Lungenkrebs
- erstes Medikament für diese Erkrankung
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- US-Zulassung im April 2020
- EU-Zulassungsantrag im **März 2020** eingereicht

Checkpoint-Inhibitor gegen Krebs des Gebärmutterkörpers (Wirkstoff: Dostarlimab) = N.N. von GSK (Tesaro)

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein gegen PD-1 gerichteter monoklonaler Antikörper
- US-Zulassungsantrag Ende 2019 gestellt
- EU-Zulassungsantrag im **März 2020** eingereicht (beschleunigtes Verfahren)

Medikament gegen diffuse großzellige B-Zell-Lymphome (DLBCL) (Wirkstoff: Tafasitamab) = Monjuvi® von MorphoSys

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein gegen CD19 gerichteter humanisierter monoklonaler Antikörper, der eine modifizierte, die Immunantwort verstärkende Fc-Domäne enthält
- für Patienten mit wiederkehrendem oder therapieresistentem DLBCL, die für eine Hochdosis-Chemotherapie (HDC) und autologe Stammzelltransplantation (ASCT) nicht in Betracht kommen
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- Breakthrough-Therapy-Status in den USA; Zulassungsantrag dort Ende Dez. 2019 eingereicht
- US-Zulassung am 31. Juli 2020
- EU-Zulassungsantrag im **Mai 2020**

Medikament gegen nicht-kleinzelligen Lungenkrebs (Wirkstoff: Pralsetinib) = Gavreto® von Blueprint Medicine

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein hoch-selektiver RET-spezifischer Kinaseinhibitor, der gegen RET-Fusionen gerichtet ist – **personalisierter Ansatz**
- außerdem in Entwicklung gegen Schilddrüsenkrebs
- US-Zulassung am 4. September 2020
- EU-Zulassungsantrag im **Mai 2020** gestellt

Medikament gegen Multiple Myelome (Wirkstoff: Idecabtagen vileucel) = N.N. von bluebird bio / Celgene (BMS)

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist eine CAR-T Zell-Gentherapie, die sich gegen das Reifungsantigen von B-Zellen richtet
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- Zulassungsantrag in den USA im März 2020
- EU-Zulassungsantrag im **Mai 2020** gestellt

Medikament zur Behandlung des Mantelzelllymphoms und der Waldenström Makroglobulinämie (Wirkstoff: Zanubrutinib) = Brukinsa® von BeiGene

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Bruton-Tyrosinkinaseinhibitor
- außerdem in Entwicklung gegen weitere Krebsarten
- **Orphan Drug**-Status in der EU für Waldenströms Makroglobulinämie
- US-Zulassung gegen Mantelzelllymphom im November 2019
- EU-Zulassungsantrag im **Juni 2020** gestellt

Medikament gegen familiäre adenomatöse Polyposis (FAP) (Wirkstoff: Eflornithin/Sulindac) = N.N. von Cancer Prevention

- neue Kombination mit bekannten Wirkstoffen; chemisch hergestellt
- Wirkstoffe sind Hemmer der Ornithin-Decarboxylase sowie der Cyclooxygenase 1 und 2
- FAP führt zu Darmpolypen in hoher Zahl, von den fast immer einer oder mehrere Krebs entwickeln
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- Zulassungsantrag in der EU und den USA im **Juni 2020** gestellt

Impfstoff gegen das Wiederauftreten von Gliomen (Wirkstoff: ERC1671/Sitoiganap) = Gliovac® von ERC Belgium

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff wird aus allogenen und autologen Gliomzellen bzw. Gliomzelllysaten gewonnen, die haptenisiert und bestrahlt werden
- die Impfung wird zusammen mit dem Stimulator GM-CSF und Cyclophosphamid verabreicht und mit Bevacizumab kombiniert
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- EU-Zulassungsantrag im **Juni 2020** auf Basis von Phase II-Daten gestellt (conditional approval angestrebt)

Gentherapie gegen diffuse große B-Zelllymphome (DLBCL), primäre mediastinale B-Zelllymphome (PMBCL) und folliculäre Lymphome Grad 3B (Wirkstoff: Lisocabtagen maraleucel (Liso-Cel)) = N.N. von Bristol-Myers Squibb (Celgene)

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist eine mittels lentiviralem Vektor hergestellte autologe CD4+/CD8+ CAR T-Zell-Suspension, die gegen CD19 gerichtet ist
- Wirkstoff wird als Drittlinientherapie eingesetzt
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- Zulassungsantrag in den USA im Dezember 2019
- EU-Zulassungsantrag im **Juli 2020** gestellt; PRIME-Status und beschleunigtes Zulassungsverfahren

Medikament gegen Methotrexattoxizität bei der Krebstherapie (Wirkstoff: Glucarpidase/Voraxase) = N.N. von Boston Scientific

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); gentechnisch hergestellt
- Wirkstoff ist eine rekombinant hergestellte Carboxypeptidase G2 (CPG2), die Methotrexat in Glutamat und DAMPA umwandelt
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- US-Zulassung im Januar 2012
- EU-Zulassungsantrag im **August 2020** gestellt

**Medikament gegen gastrointestinale Stromatumoren/GIST
(Wirkstoff: Ripretinib) = Qinlock® von Deciphera Pharmaceuticals**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Hemmer der c-KIT-Kinase, der PDGFR alfa-Kinase sowie der VEGFR-2 Tyrosinkinase
- **Orphan Drug**-Status in der EU
- in den USA seit Mai 2020 zugelassen (im Rahmen von Orbis, d.h. zeitgleich mit Kanada und Australien)
- EU-Zulassungsantrag im **September 2020** gestellt

**Medikament gegen nicht-kleinzelligen Lungenkrebs mit METex14
skipping alterations (Wirkstoff: Tepotinib) = N.N. von Merck Serono**

- Medikament mit neuem Wirkstoff (**NME**); chemisch hergestellt
- Wirkstoff ist ein Hemmer der fehlerhaften Rezeptor-Tyrosinkinase MET (mesenchymal-to-epithelial transition factor), die durch ein Überspringen des Exons 14 beim Ablesen des MET-Gens zustande kommt – **personalisierter Ansatz**
- diese Mutation betrifft ca. 2-3 Prozent der NSCLC-Patienten
- US-Zulassung im Oktober 2020 beantragt
- EU-Zulassungsantrag im **November 2020** gestellt