

| Wirkstoff   | Markenname  | Anwendungsgebiet   | Hersteller                | ATMP | Gentech | Orphan Drug | Kurzbeschreibung des Medikaments   | Personal. Ansatz/m. CompDiagn.                   | EU-Zulassung erteilt | CHMP Status (Positive Opinion)   | EU-Zulassungsantrag gestellt | Zulassung US u.a.                    | Sonstiges                             |
|---|---|--|---------------------------|------|---------|-------------|--|--|----------------------|--|------------------------------|--------------------------------------|---------------------------------------|
| 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 unbekannte 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.  |   |  |                           |      |         |             |  |  |                      |  |                              |                                      |                                       |
| Medikamente werden in zahlreichen Studien mit Gesunden und Patient:innen erprobt. Wenn sie sich hier bewähren, beantragt der Hersteller die Zulassung für die EU (oder selten: einige europäische Länder). Während des Zulassungsverfahrens prüft die Zulassungsinstitution alle eingereichten Ergebnisse; ein Expertengremium (das für die EU das Kürzel CHMP trägt) gibt schließlich eine Empfehlung ab (die „Positive Opinion“ oder „Negative Opinion“), ob das Medikament zugelassen werden sollte oder nicht. Rund drei Monate später entscheidet dann die Europäische Kommission über die Zulassung, die in allen 27 EU-Mitgliedstaaten sowie einigen assoziierten Ländern gilt. Fast immer folgt die Kommission der „Positive Opinion“. Nach der Zulassung dauert es manchmal nur einen Tag, in anderen Fällen aber noch Monate, bis das neue Medikament auf den Markt kommt. Das hängt u. a. davon ab, ob der Hersteller zum Zeitpunkt der Zulassung bereits über eine ausreichende Produktionskapazität für das Medikament verfügt oder diese erst noch aufbauen muss. |   |  |                           |      |         |             |  |  |                      |  |                              |                                      |                                       |
| Die vorliegende Tabelle folgt in ihrer Gliederung der geschilderten Abfolge, ist jedoch rückwärts sortiert. Medikamente, deren Markteinführung mutmaßlich unmittelbar bevorsteht, stehen ganz vorn, während es bis zur Markteinführung der weiter hinten stehenden Präparate noch länger dauern dürfte. Durch Farbhinterlegung sind folgende Kategorien unterschieden:  |   |  |                           |      |         |             |  |  |                      |  |                              |                                      |                                       |
| <b>Farbkodierung:</b>   | <b>Medikament zugelassen, aber noch nicht auf dem Markt</b> |  |                           |      |         |             | EU-Zulassung beantragt; „Positive Opinion“ erteilt   |  |                      |  |                              |                                      |                                       |
| <b>Medikament zugelassen, aber noch nicht auf dem Markt</b>   |   |  |                           |      |         |             |  |  |                      |  |                              |                                      |                                       |
| <b>Piflufolostat (18F)</b>  | Pyclairi <sup>®</sup>                                       | Prostatakarzinom   | Curium                    | nein | nein    | nein        | NME; Diagnose eines Prostatakarzinoms mittels PET sowohl beim primären Staging von Hochrisiko-Patienten als auch bei Verdacht auf ein Rezidiv  | nein   | 24.07.2023           | 26.05.2023   | 14. Jul 22                   | Zulassung in den USA im Mai 2021     |                                       |
| <b>Pirtobrutinib</b>  | Jaypirca <sup>®</sup>                                       | B-Zell-Leukämien und -Lymphomen  | Loxo Oncology/Lilly       | nein | nein    | ja          | NME; nicht-kovalenter Inhibitor der Bruton-Tyrosinkinase, der oral verabreicht wird  | nein   | 30.10.2023           | 26.04.2023   | Jun 22                       | FDA-Zulassung im Januar 2023         |                                       |
| <b>Adagrasib</b>  | Krazati <sup>®</sup>  | nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)   | Mirati Therapeutics       | nein | nein    | nein        | NME; Antagonist des KRAS-Onkoproteins mit G12C-Punktmutation   | ja: Nachweis der KRAS <sup>G12C</sup> -Mutation  | 05.01.2024           | positives Vorum am 10.11.2023 (für konditionelle Zulassung) nach zunächst "negative opinion" am 21.7.2023, Antrag des Herstellers auf Reevaluierung am 27.7.2023 | Mai 22                       | FDA-Zulassungsantrag im Februar 2022 |                                       |
| <b>Retifanlimab</b>   | Zynzyt <sup>™</sup>   | Merkelzellkarzinom   | Incyte                    | nein | ja      | ja          | NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper gegen das PD-1-Immuncheckpoint-Molekül  | nein   | 19.04.2024           | 23.02.2024   | 23.03.2023                   |                                      |                                       |
| <b>Sugemalimab</b>  | N.N.  | nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)   | CStone/EQRx               | nein | ja      | nein        | NME; Wirkstoff ist ein humaner, Anti-PD-L1-IgG4-Antikörper mit potentiell geringerer Immunogenität und Toxizität im Vergleich zu anderen Antikörpern dieser Art.   | nein   | 24.07.2024           | 31.05.2024   | 23.02.2023                   |                                      |                                       |
| <b>Odronextamab</b>   | Ordspono <sup>®</sup>                                       | Non-Hodgkin-Lymphome   | Regeneron Pharmaceuticals | nein | ja      | ja          | NME; Wirkstoff ist ein bispezifischer Antikörper, der CD20 auf den Lymphomzellen und CD3 auf T-Zellen erkennt und dadurch die Eliminierung der Lymphomzellen begünstigt.   | nein   | 22.08.2024           | 28.06.2024   | 17.08.2023                   |                                      |                                       |
| <b>Toripalimab</b>  | Loqtorz <sup>®</sup>  | Nasopharynx-Karzinom   | Junshi Biosciences        | nein | ja      | nein        | NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper, der PD-1 bindet und dadurch die Aktivierung von T-Lymphozyten gegen Tumorzellen fördert  | nein   | 19.09.2024           | 26.07.2024   | 01.12.2022                   | US-Zulassung am 27.10.2023           |                                       |
| <b>EU-Zulassung beantragt; „Positive Opinion“ vom CHMP erteilt</b>  |   |  |                           |      |         |             |  |  |                      |  |                              |                                      |                                       |
| <b>Erdafitinib</b>  | Balversa <sup>®</sup>                                       | Blasenkarzinom   | Janssen                   | nein | nein    | nein        | NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor des Rezeptors für den Fibroblasten-Wachstumsfaktor (FGFR), der bei manchen Tumoren verändert ist, sodass seine Inhibition das Tumorwachstum hemmt.  | ja (Vorliegen von Mutationen des FGFR)           |                      |  | 28.06.2024                   | 28.09.2023                           |                                       |
| <b>Serplulimab</b>  | N.N.  | Kleinzelliges Lungenkarzinom (SCLC)  | Shanghai Henlius Biotech  | nein | ja      | ja          | NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper, der PD-L1 bindet und dadurch die Reaktivität von zytotoxischen T-Zellen gegen Tumorzellen verstärkt.   | nein   |                      |  | 20.09.2024                   | 23.03.2023                           | Orphan-Drug-Status in USA am 7.4.2022 |
| <b>Lutetium (177Lu) chloride</b>  | Illuzyce <sup>®</sup> / Theralugand <sup>®</sup>            | Maligne Tumorerkrankungen  | Billeev Pharma ApS        | nein | nein    | nein        | NME; Wirkstoff ist ein Radiopharmazeutikum, das nicht direkt an Patient:innen eingesetzt, sondern an Moleküle gekoppelt werden kann, die an Tumorzellen binden und dadurch die Strahlung des Radiopharmazeutikums auf diese Zellen fokussieren.  | nein   |                      |  | 20.09.2024                   | 17.08.2023                           |                                       |
| <b>Repotrectinib</b>  | Augtyro   | fortgeschrittene solide Tumore mit NTRK-Genfusion oder fortgeschrittener NSCLC, der ROS1-positiv ist | Bristol Myers Squibb      | nein | nein    | nein        | NME; Wirkstoff ist ein Kinase-Inhibitor  | ja   |                      |  | 15.11.2024                   |                                      |                                       |
| <b>Lazertinib</b>   | LECLAZA <sup>®</sup>  | nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC) mit EGFR-Mutationen                                       | Janssen                   | nein | ja      | nein        | NME; Wirkstoff ist ein oral verfügbarer EGFR-Tyrosinkinaseinhibitor der dritten Generation, der die Blut-Hirn-Schranke passieren kann. Lazertinib hemmt sowohl die T790M-Mutation als auch aktivierende Mutation des EGF-Rezeptors und soll in Kombination mit dem monoklonalen Antikörper Amivantamab angewandt werden. | ja (Nachweis von EGFR-Mutationen)                |                      |  | 15.11.2024                   | 01.02.2024                           |                                       |
| <b>Belzutifan</b>   | Welireg <sup>™</sup>  | Tumoren bei Von-Hippel-Lindau-Krankheit  | MSD                       | nein | nein    | nein        | NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor der Untereinheit HIF-1α des HIF-Proteinkomplexes, der bei Patient:innen mit Von-Hippel-Lindau-Krankheit sich in Zellen anreichert und zum Beispiel Nierentumoren verursacht.  | ja (Nachweis einer Von-Hippel-Lindau-Erkrankung) |                      |  | 13.12.2024                   | 28.12.2023                           | FDA-Zulassung am 21.9.2021            |
| <b>Imetelstat</b>   | Nemluvio  | Anämie aufgrund eines Myelodysplastischen Syndroms, die Transfusionen erfordert                      |                           |      |         |             | NME: Anämie aufgrund eines Myelodysplastischen Syndroms, die Transfusionen erfordert   |  |                      |  | 13.12.2024                   |                                      |                                       |
| <b>EU-Zulassung beantragt; noch keine „Positive Opinion“</b>  |   |  |                           |      |         |             |  |  |                      |  |                              |                                      |                                       |
| <b>Decitabin Cedazuridin</b>  | Inqovi <sup>®</sup>   | Myelodysplastisches Syndrom  | Taiho Oncology            | nein | nein    | nein        | NME; Kombination zweier Wirkstoffe, des bekannten Nukleosid-Metabolismus-Inhibitors Decitabine und des Cytidin-Deaminase-Inhibitors Cedazuridine, die die Vermehrung von Blasten hemmen  | nein   |                      |  |                              | 16. Jun 22                           |                                       |
| <b>Aumolertinib</b>   | N.N.  | nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)   | EQRx                      | nein | nein    | nein        | NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor des EGF-Rezeptor mit aktivierenden Mutationen   | ja   |                      |  |                              | 01.12.2022                           |                                       |
| <b>Repotrectinib</b>  | Augtyro <sup>™</sup>  | ROS1-positives nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)  | BMS                       | nein | nein    | nein        | NME; Wirkstoff ist ein oraler, niedermolekularer Kinaseinhibitor für die Onkoproteine ROS1 (ROS1) und der Tropomyosinrezeptor-Tyrosininasen (TRKs) TRKA, TRKB, and TRKC.   | ja (Nachweis von Fusionen des ROS1 - Gens)       |                      |  |                              | 28.12.2023                           | FDA-Zulassung am 15.11.2023           |

|                                  |            |   |                            |      |      |      |   |                                       |  |  |  |  |  |
|----------------------------------|------------|---|----------------------------|------|------|------|---|---------------------------------------|--|--|--|--|--|
| Vorasidenib                      | N.N.       | Grad-2-Gliome mit IDH-Mutationen  | Servier                    | nein | nein | ja   | NME; Wirkstoff ist ein oral verfügbarer Inhibitor der mutierten Formen der Enzyme Isocitrat-Dehydrogenase 1 und 2 (IDH1/2), der die Blut-Hirn-Schranke passieren kann und gegen Gliome mit solche Mutationen wirksam ist.   | ja (Nachweis von IDH1/2-Mutationen)   |  |  | 25.01.2024<br>(beschleunigtes Zulassungsverfahren) | FDA-Zulassung im September 2021              |  |
| Tisotumab Vedotin                | Tivdak®    | Zervixkarzinom  | Seagen                     | nein | ja   | nein | NME; Wirkstoff ist ein Antikörper-Wirkstoff-Konjugat (ADC), dessen Antikörperkomponente sich gegen Tissue factor (TF) richtet, der von Tumorzellen exprimiert wird und neben anderen pathologischen Prozessen an Metastasierung, Tumorwachstum und Tumorangiogenese beteiligt ist. Der Komplex wird von TF-exprimierenden Krebszellen aufgenommen, in denen das freigesetzte Zytostatikum dann die Apoptose verursacht.                         | nein                                  |  |  | 01.02.2024   |  |  |
| Linvoseltamab                    | N.N.       | Multiples Myelom  | Regeneron Pharmaceuticals  | nein | ja   | nein | NME; Wirkstoff ist ein bispezifischer Antikörper, der das BCMA-Antigen (B-Cell Maturation Antigen) auf Myelom-Zellen und das CD3-Antigen auf zytotoxischen T-Zellen bindet und beide Zelltypen so in einen engen, für die Myelomzellen letalen Kontakt miteinander bringt.  | nein                                  |  |  | 01.02.2024   |  |  |
| Resminostat                      | Kinselby®  | Kutanes T-Zell-Lymphom  | 4SC AG                     | nein | nein | ja   | NME; Wirkstoff ist ein oral verfügbarer Inhibitor von Histoneacetylrasen (HDACs), der durch Akkumulation hochgradig acetylierter Histone, Behinderung des Chromatin-Remodelings, Hemmung der Transkription von Tumorsuppressor-Genen und der Zellteilung zur Apoptose der Tumorzellen führt.  | nein                                  |  |  | 29.02.2024   |  |  |
| Nirogacestat                     | N.N.       | Desmoid-Tumoren   | SpringWorks Therapeutics   | nein | nein | ja   | NME; Wirkstoff ist ein $\gamma$ -Secretase-Inhibitor, der den Notch-Signalweg und das Zellwachstum blockiert.   | nein                                  |  |  | 29.02.2024   |  |  |
| Datopotamab-Deruxtecan           | N.N.       | Mammakarzinom (HR+, HER2-)  | Daiichi Sankyo/AstraZeneca | nein | ja   | nein | NME; Wirkstoff ist ein Antikörper-Wirkstoff-Konjugat, dessen Antikörperkomponente Datopotamab das Oberflächenantigen TROP2 auf Krebszellen erkennt. Nach Bindung und Internalisierung des Komplexes wird das gekoppelte Zytostatikum freigesetzt, das die Krebszellen abtötet.  | nein                                  |  |  | 01.03.2024   |  |  |
| Obecabtagene autoleucel          | N.N.       | B-Zell Akute lymphoblastische Leukämie (B-ALL), relapsiert oder therapierefraktär | Autolus                    | ja   | nein | ja   | NME; Gegen CD19 gerichtetes CAR-T-Zell-Therapeutikum zur Behandlung der B-Zell Akute lymphoblastische Leukämie bei Erwachsenen.   | nein                                  |  |  | 15.03.2024   |  |  |
| Sargramostim                     | Leukine®   | Stimulation der Hämatopoese   | Sanofi Aventis             | nein | ja   | nein | NME; Wirkstoff ist ein modifizierter humaner rekombinanter Granulozyten-Makrophagen-Koloniestimulierender Faktor (GM-CSF), der in Hefezellen hergestellt wird und zur Stimulation der Hämatopoese etwa nach myelosuppressiven Therapien oder nach einer Knochenmarkstransplantation eingesetzt wird.  | nein                                  |  |  | 25.04.2024   | FDA-Zulassung 1991                           |  |
| Inavolisib                       | Vijoice®   | HR+/HER2- Mammakarzinom   | Roche                      | nein | nein | nein | NME; Wirkstoff ist ein oral aktiver, selektiver Inhibitor der Phosphoinositol-3-Kinase $\alpha$ , der das progressionsfreie Überleben von Patientinnen mit fortgeschrittenem HR+/HER2-Mammakarzinom verlängert.   | nein                                  |  |  | 23.05.2024   | USA: Breakthrough Therapy-Status im Mai 2024 |  |
| Zanidatamab                      | N.N.       | HER2+ Gallengangskarzinom   | Jazz Pharmaceuticals       | nein | ja   | ja   | NME; Wirkstoff ist ein bispezifischer Antikörper, der zwei nicht überlappende Epitope des HER2-Antigens auf Tumorzellen erkennt und dadurch eine doppelte Blockade dieses Wachstumsfaktor-Rezeptors, seine Entfernung von der Zelloberfläche und eine immunvermittelte Zytotoxizität gegen die Tumorzellen bewirkt.   | ja (Nachweis der HER2-Überaplikation) |  |  | 20.06.2024   |  |  |
| Dorubicin                        | N.N.       | Allogene Stammzelltransplantation   | ExCellThera Inc.           | ja   | nein | nein | NME; Wirkstoff ist ein Produkt aus Zellen von Nabelschnurblut, das Engraftment und Rekonstitution des Immunsystems bei allogener Stammzelltransplantation beschleunigen soll.   | nein                                  |  |  | 20.06.2024   |  |  |
| Bifikafusp alfa/ Onfekafusp alfa | Darleukin® | resezierbare Melanome er Stadien IIIB/C   | Philogen                   | nein | ja   | nein | NME; Bifikafusp alfa ist ein Fusionsprotein aus dem proinflammatorischen Interleukin 2 (IL-2) und einem humanen Antikörperfragment, das an die im Tumor-Microenvironment exprimierte Extradomäne B von Fibronectin bindet. Dadurch wird IL-2 direkt im Tumor konzentriert und stimuliert dort eine Immunreaktion ohne systemische Nebenwirkungen. Ziel ist, durch Verkleinerung von Melanomen der Stadien IIIB/C ihre Resektion zu erleichtern. | nein                                  |  |  | 20.06.2024   |  |  |
| Vimseltinib                      | N.N.       | Tenosynovialer Riesenzell-Tumor   | Deciphera                  | nein | nein | ja   | NME; Wirkstoff ist ein oral verfügbarer "switch-control"-Tyrosinkinaseinhibitor, der selektiv den Rezeptor für den Koloniestimulierenden Faktor 1 (CSF1R) hemmen soll.  | nein                                  |  |  | 18.07.2024   |  |  |
| Mirdametinib                     | N.N.       | Neurofibromatose-Typ-1-assoziiertes plexiformes Neurofibrom (NF1-PN)              | SpringWorks Therapeutics   | nein | nein | ja   | NME; Wirkstoff ist ein hochgradig selektiver, nicht ATP-kompetitiver Inhibitor der MEK1- und MEK2-Kinasen. Es hemmt die Phosphorylierung der MAP-Kinasen ERK1 and ERK2 und dadurch das Wachstum von Tumorzellen.  | nein                                  |  |  | 15.08.2024   |  |  |
| Lifileucel                       | Amtagvi®   | Fortgeschrittenes Melanom   | lovance                    | ja   | nein | nein | NME; Wirkstoff ist eine zelluläre Therapie aus autologen Tumorinfiltrierenden Lymphozyten (TIL), die bei Patienten mit fortgeschrittenem Melanom, die mit Immuncheckpoint-Inhibitoren vorbehandelt sind, in Verbindung mit Interleukin-2 potentiell anhaltende Remissionen bewirken kann.   | nein                                  |  |  | 15.08.2024   | Mrz 24                                       |  |
| Obecabtagene autoleucel          | N.N.       | B-Zell Akute lymphoblastische Leukämie (B-ALL), relapsiert oder therapierefraktär | Autolus                    | ja   | nein | ja   | NME; Gegen CD19 gerichtetes CAR-T-Zell-Therapeutikum zur Behandlung der B-Zell Akute lymphoblastische Leukämie bei Erwachsenen.   | nein                                  |  |  | 02.04.2022, Orphan-Status<br>13.4.2022             |  |  |



