

## Regelwerke

Jahr: 2021, Thema Arzneimittelsicherheit und Nutzenbewertung

### 3 Quartal

Im Bundesanzeiger sind immer wieder Bekanntmachungen von Beschlüssen des Gemeinsamen Bundesausschusses zum sogenannten Off-Label-Gebrauch von Arzneimitteln zu finden. Eine aktuelle Bekanntmachung betrifft:

- Bortezomib plus Cyclophosphamid plus Dexamethason zur Induktionstherapie des neu diagnostizierten Multiplen Myeloms (BAnz. vom 16.08.2021).

Die Arzneimittel-Richtlinie (AMR) wird in ihrer Anlage XII durch Bekanntmachungen im Bundesanzeiger regelmäßig erweitert um Beschlüsse des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Neuere Beschlüsse mit negativem Ergebnis (= nur geringer bis kein Zusatznutzen gegenüber der Vergleichstherapie) betreffen folgende Wirkstoffe/Indikationsgebiete:

- Perampanel (Fycompa®) bei primär generalisierten epileptischen Anfällen bei Kindern (BAnz. vom 06.07.2021);
- Acalabrutinib (Calquence®) als Monotherapie bzw. in Kombination mit Obinutuzumab bei chronisch lymphatischer Leukämie (BAnz. vom 14. und 15.07.2021);
- Niraparib (Zejula®) bei Ovarial-, Eileiter- oder primärem Peritonealkarzinom (BAnz. vom 19.07.2021);
- Dupilumab (Dupixent®) bei schwerer atopischer Dermatitis (BAnz. vom 22.07.2021);
- Nivolumab (Opdivo®) beim Plattenepithelkarzinom des Ösophagus (BAnz. vom 22.07.2021);
- Olaparib (Lynparza®) in Kombination mit Bevacizumab bei Ovarial-, Eileiter- oder primärem Peritonealkarzinom (BAnz. vom 23.07.2021);
- Afamelanotid (Scenesse®) zur Prävention der Phototoxizität bei erythropoetischer Protoporphyrinurie (BAnz. vom 26.07.2021);
- Lumasiran (Oxlumo®) bei primärer Hyperoxalämie Typ 1 (BAnz. vom 27.07.2021);

- Sucroferric Oxyhydroxide (Velphoro®) zur Serumphosphatspiegelkontrolle bei chronischer Nierenerkrankung (BAnz. vom 05.08.2021);
- Sebelipase alfa (Kanuma®) zur langfristigen Enzymersatztherapie bei LAL-Mangel (BAnz. vom 09.08.2021);
- Ipilimumab (Yervoy®) in Kombination mit Nivolumab und platinbasierter Chemotherapie beim nicht-kleinzelligen Lungenkarzinom (BAnz. vom 10.08.2021);
- Nivolumab (Opdivo®) in Kombination mit Ipilimumab und platinbasierter Chemotherapie beim nicht-kleinzelligen Lungenkarzinom (BAnz. vom 10.08.2021);
- Upadacitinib (Rinvoq®) bei ankylosierender Spondylitis (BAnz. vom 10.08.2021);
- Inclisiran (Leqvio®) bei primärer Hypercholesterinämie oder gemischter Dyslipidämie (BAnz. vom 12.08.2021);
- Olaparib (Lynparza®) zur Erhaltungstherapie bei bestimmten Adenokarzinomen des Pankreas (BAnz. vom 13.08.2021);
- Pertuzumab/ Trastuzumab (Phesgo®) bei bestimmten Formen des Mammakarzinoms (BAnz. vom 13.08.2021);
- Blinatumomab (Blincyto®) bei akuter lymphatischer B-Zell-Leukämie (BAnz. vom 25.08.2021);
- Autologe Anti-CD19-transduzierte CD3-positive Zellen (Tecartus®) bei Mantelzell-Lymphom (BAnz. vom 26.08.2021);
- Dolutegravir (Tivicay®) zur Behandlung von HIV-Infektionen bei Kindern (BAnz. vom 27.08.2021);
- Lenvatinib (Kisplyx®) in Kombination mit Everolimus beim fortgeschrittenen Nierenzellkarzinom (BAnz. vom 30.08.2021);
- Levofloxacin/ Dexamethason (Ducressa®) gegen Infektionen und Entzündungen im Zusammenhang mit Katarakt-Operationen (BAnz. vom 30.08.2021);
- Baloxavir marboxil (Xofluza®) zur Behandlung einer unkomplizierten Influenza (BAnz. vom 30.08.2021);
- Pertuzumab/ Trastuzumab (Phesgo®) in Kombination mit Docetaxel beim Mammakarzinom (BAnz. vom 01.09.2021);
- Upadacitinib (Rinvoq®) bei Psoriasis-Arthritis (BAnz. vom 03.09.2021);
- Carfilzomib (Kyprolis®) in Kombination mit Daratumumab und Dexamethason beim Multiplen Myelom (BAnz. vom 03.09.2021);
- Niraparib (Zejula®) bei Ovarial-, Eileiter- oder primärem Peritonealkarzinom (BAnz. vom 08.09.2021).

Zu den Arzneimitteln, denen ein beträchtlicher Zusatznutzen bescheinigt wurde, zählen:

- die Kombination von Atezolizumab (Tecentriq®) mit Bevacizumab beim fortgeschrittenen hepatozellulären Karzinom (BANz. vom 23.07.2021);
- Dapagliflozin (Forxiga®) bei chronischer Herzinsuffizienz (BANz. vom 25.08.2021);
- Baloxavir marboxil (Xofluza®) zur Postexpositionsprophylaxe einer Influenza (BANz. vom 27.08.2021);
- Acalabrutinib (Calquence®) bei bestimmten Formen der chronischen lymphatischen Leukämie (BANz. vom 03.09.2021);
- Avelumab (Bavencio®) zur Erstlinien-Erhaltungstherapie bei Urothelkarzinomen (BANz. vom 14.09.2021);
- Olaparib (Lynparza®) bei bestimmten Formen des Prostatakarzinoms (BANz. vom 17.09.2021);
- Fenfluramin (Fintepla®) zur Behandlung von Krampfanfällen im Zusammenhang mit dem Dravet-Syndrom als Zusatztherapie zu anderen Antiepileptika (BANz. vom 28.09.2021).

## 2 Quartal

Im Bundesanzeiger sind regelmäßig Bekanntmachungen von Beschlüssen des Gemeinsamen Bundesausschusses zum sogenannten Off-Label-Gebrauch von Arzneimitteln zu finden. Eine aktuelle Bekanntmachung betrifft:

Amitryptilin, Topiramal zur Migräneprophylaxe bei Kindern und Jugendlichen (BANz. vom 09.04.2021).

- Ibalizumab (Trogarzo®) bei multiresistenten HIV-Infektionen (BANz. vom 01.04.2021);
- Belantamab-Mafodotin (Blenrep®) beim Multiplen Myelom (BANz. vom 16.04.2021);
- Secukinumab (Cosenty®) bei Psoriasis-Arthritis (BANz. vom 08.04.2021);
- Bulevirtid (Hepcludex®) bei chronischer Hepatitis-D-Infektion (BANz. vom 09.04.2021);

- Alpelisib (Piqray®) in Kombination mit Fulvestrant bei bestimmten Formen des Mammakarzinoms (BAnz. vom 13.04.2021);
- Entrectinib (Rozlytrek®) beim fortgeschrittenen nicht kleinzelligen Lungenkarzinom (BAnz. vom 28.04.2021);
- Secukinumab (Cosentyx®) bei axialer Spondylarthritis (BAnz. vom 04.05.2021);
- Durvalumab (Imfinzi®) in Kombination mit Etoposid und Carboplatin bzw. Cisplatin beim kleinzelligen Lungenkarzinom (BAnz. vom 04.05.2021);
- Entrectinib (Rozlytrek®) bei soliden Tumoren (BAnz. vom 05.05.2021);
- Secukinumab (Cosentyx®) bei Plaque-Psoriasis (BAnz. vom 06.05.2021);
- Bempedoinsäure (Nilemdo®) bzw. Bempedoinsäure/ Ezetimib (Nustendi®) bei primärer Hypercholesterinämie oder gemischter Dyslipidämie (BAnz. vom 10.05.2021);
- Sofosbuvir/ Velpatasvir (Epclusa®) bei chronischer Hepatitis C (BAnz. vom 11.05.2021);
- Avapritinib (Ayvalyt®) bei gastrointestinalen Stromatumoren (BAnz. vom 25.05.2021);
- Burosumab (Crysvita®) bei x-chromosomaler Hypophosphatämie (BAnz. vom 26.05.2021);
- Semaglutid (Ozempic®) bei Diabetes mellitus Typ 2 (BAnz. vom 02.06.2021);
- Filgotinib (Jseleca®) bei rheumatoider Arthritis (BAnz. vom 04.06.2021);
- Kombination Ivacaftor/ Tezacaftor (Kalydeco®, Symkevi®) bei zystischer Fibrose (BAnz. vom 16., 17. und 18.06.2021);
- Baricitinib (Olumiant®) bei schwerer atopischer Dermatitis (BAnz. vom 18.06.2021);
- Ivacaftor (Kalydeco®) bei zystischer Fibrose bei Säuglingen (BAnz. vom 21. und 22.06.2021);
- Amikazin (Arikayce® liposomal) bei Mycobacterium-avium-Komplex-Lungeninfektionen (BAnz. vom 23.06.2021);
- Crizanlizumab (Adakveo®) zur Prävention vasookklusiver Krisen bei Sichelzellerkrankheit (BAnz. vom 24.06.2021);
- Perampanel (Fycompa®) bei Epilepsie mit fokalen Anfällen (BAnz. vom 25.06.2021);
- Tafamidis (Vyndaqel®) bei Amyloidose mit Polyneuropathie (BAnz. vom 25.06.2021);

- Guselkumab (Tremfya®) bei Psoriasis-Arthritis (BAnz. vom 29.06.2021).

Zu den Arzneimitteln, denen ein beträchtlicher Zusatznutzen bescheinigt wurde, zählen:

- die Kombination von Glasdegib (Daurismo®) und Cytarabin bei akuter myeloischer Leukämie (BAnz. vom 01.04.2021);
- die Kombination Ivacaftor (Kaftrio®)/ Tezacaftor/ Elexacaftor bei zystischer Fibrose (BAnz. vom 08.04.2021);
- die Kombination von Ibrutinib (Imbruvica®) mit Rituximab zur Erstlinienbehandlung der chronischen lymphatischen Leukämie (BAnz. vom 07.05.2021);
- die Kombination von Cannabidiol (Epidyolex®) mit Clobazam in der adjuvanten Behandlung von Krampfanfällen bei Lennox-Gastaut- oder Dravet-Syndrom (BAnz. vom 18.05.2021);
- die Kombination von Cannabidiol (Epidyolex®) mit Clobazam bei Dravet-Syndrom (BAnz. vom 01.06.2021);
- Tafamidis (Vyndaqel®) zur Behandlung der Amyloidose bei Kardiomyopathie (BAnz. vom 21.06.2021);
- Nusinersen (Spinraza®) bei 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie Typ 1 und 2 (BAnz. vom 24.06.2021).

### **1 Quartal**

Mit Bekanntmachung vom 6. September 2019 hatte das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) einen Lieferengpass bei cytarabin-haltigen Arzneimitteln festgestellt. Damit kam § 79 Abs. 5 AMG zur Anwendung, was praktisch bedeutete, dass befristet bis zur Wiederverfügbarkeit des in Deutschland zugelassenen Arzneimittels ausnahmsweise fremdsprachlich gekennzeichnete Packungen durch Apotheken und Großhändler abgegeben werden durften. Mit BMG-Bekanntmachung vom 5. Januar 2021 (BAnz. vom 22.01.2021) wurde der Versorgungsnotstand für beendet erklärt.

Im Bundesanzeiger sind regelmäßig Bekanntmachungen von Beschlüssen des Gemeinsamen Bundesausschusses zum sogenannten Off-Label-Gebrauch von Arzneimitteln zu finden. Eine aktuelle Bekanntmachung betrifft:

- Clostridium botulinum Toxin Typ A bei aufgabenspezifischer fokaler Dystonie (BAnz. vom 14.01.2021).

Die Arzneimittel-Richtlinie (AMR) wird in ihrer Anlage XII durch Bekanntmachungen im Bundesanzeiger regelmäßig erweitert um Beschlüsse des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Neuere Beschlüsse mit negativem Ergebnis (= nur geringer bis kein Zusatznutzen gegenüber der Vergleichstherapie) betreffen folgende Wirkstoffe/ Indikationsgebiete:

- Ponatinib (Iclusig®) bei akuter lymphatischer Leukämie (BAnz. vom 13.01.2021);
- Solriamfetol (Sunosi®) zur Behandlung der Narkolepsie mit und ohne Kataplexie (BAnz. vom 18.01.2021);
- Ponatinib (Iclusig®) bei chronisch myeloischer Leukämie (BAnz. vom 18.01.2021);
- Naldemedin (Rizmoic®) zur Behandlung von Opioid-induzierter Obstipation (BAnz. vom 19.01.2021);
- Apremilast (Otezla®) beim Behcet-Syndrom (BAnz. vom 20.01.2021);
- Venetoclax (Venclyxto®) in Kombination mit Obinutuzumab bei chronisch lymphatischer Leukämie (BAnz. vom 26.01.2021);
- Mogamulizumab (Poteligeo®) bei Mycosis fungoides oder Sézary-Syndrom (BAnz. vom 27.01.2021);
- Fostamatinib (Tavlesse®) bei chronischer Immunthrombozytopenie (BAnz. vom 27.01.2021);
- Enzalutamid (Xtandi®) beim nicht-metastasierten, kastrationsresistenten Prostatakarzinom (BAnz. vom 02.02.2021);
- Ozanimod (Zeposia®) bei schubförmig remittierender Multipler Sklerose (BAnz. vom 03.02.2021);
- Ivacaftor (Kalydeco®) bei zystischer Fibrose (BAnz. vom 03.02.2021);
- Brentuximab Vedotin (Adcetris®) beim systemischen anaplastischen großzelligen Lymphom (BAnz. vom 04.02.2021);
- Caplacizumab (Cabliivi®) bei erworbener thrombotisch-thrombozytopenischer Purpura (BAnz. vom 04.02.2021);
- Tezacaftor (Symkevi®) in Kombination mit Ivacaftor bei zystischer Fibrose (BAnz. vom 08. und 12.02.2021);

- Ixekizumab (Taltz®) bei Plaque-Psoriasis bei Kindern und Jugendlichen (BAnz. vom 23.02.2021);
- Ixekizumab (Taltz®) bei axialer Spondyloarthritis (BAnz. vom 24.02.2021);
- Luspatercept (Reblozyl®) bei transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer beta-Thalassämie verbunden ist (BAnz. vom 26.02.2021);
- Luspatercept (Reblozyl®) bei transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (BAnz. vom 02.03.2021);
- Trifaroten (Selgamis®) zur Behandlung der Acne vulgaris (BAnz. vom 02.03.2021);
- Sofosbuvir (Sovaldi®) bei chronischer Hepatitis C (BAnz. vom 04.03.2021);
- Osilodrostat (Isturisa®) beim endogenen Cushing-Syndrom (BAnz. vom 05.03.2021);
- Ravulizumab (Ultomiris®) beim atypischen hämolytisch-urämischem Syndrom (BAnz. vom 05.03.2021);
- Kombination Indacaterolacetat (Enerzair® Breezhaler®)/ Glycopyrroniumbromid/ Mometasonfumarat bei Asthma (BAnz. vom 15.03.2021);
- Nintedanib (Ofev®) bei chronisch progredienten fibrosierenden interstitiellen Lungenerkrankungen (BAnz. vom 23.03.2021);
- Nintedanib (Ofev®) bei interstitiellen Lungenerkrankungen mit systemischer Sklerose (BAnz. vom 30.03.2021).

Zu den Arzneimitteln, denen ein beträchtlicher Zusatznutzen bescheinigt wurde, zählen:

- Givosiran (Givlaari®) bei akuter hepatischer Porphyrie (BAnz. vom 14.01.2021);
- Talazoparib (Talzenna®) bei Mammakarzinom (BAnz. vom 22.01.2021);
- Encorafenib (Braftovi®) in Kombination mit Cetuximab beim metastasierten Kolorektalkarzinom mit BRAF-V600E-Mutation (BAnz. vom 22.02.2021);
- Kombination Ledipasvir (Harvoni®)/ Sofosbuvir bei chronischer Hepatitis C (BAnz. vom 10.03.2021);
- Kombination Ivecافتor (Kalydeco®, Kaftrio®)/ Tezacaftor/ Elexacaftor bei zystischer Fibrose (BAnz. vom 23.03.2021 und 31.03.2021).

Autor: Deutschland, Dr. Michael Schmidt, Rottendorf