

## Liste der Härtefallprogramme des Paul-Ehrlich-Instituts

Stand 09.04.2024

### Arzneimittel Lanadelumab

<b>Wirkstoff</b>	Monoklonaler Antikörper Lanadelumab
<b>Darreichungsform</b>	Lösung zur subkutanen Injektion in einer Konzentration von 150 mg/ml pro Durchstechflasche
<b>Art der Anwendung</b>	Subkutane Injektion
<b>Dosierung</b>	150-mg-Dosis, verabreicht entweder alle 2 Wochen oder alle 4 Wochen
<b>Medizinische Indikation</b>	Prävention akuter Attacken des hereditären Angioödems (HAE) bei pädiatrischen Patienten im Alter von 2 bis < 12 Jahren. Um geeignet zu sein, müssen die Patienten die Studie SHP643-301 abgeschlossen haben
<b>Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige</b>	29.01.2024
<b>Laufzeit des Härtefall-Programms</b>	28.01.2025
<b>Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson</b>	Takeda Development Center Americas, Inc. (TDC Americas) 95 Hayden Avenue, Lexington, MA 02421, USA  Ansprechpartner: Marcelo Freire Takeda Italia S.p.A Via Elio Vittorini 129 00144 ROM ITALIEN E-Mail: marcelo.freire@takeda.com Telefon: +41 79 758 4815

### Arzneimittel rADAMTS13 (TAK-755)

<b>Wirkstoff</b>	rADAMTS13 (TAK-755)
<b>Darreichungsform</b>	Pulver zur Herstellung einer Infusionslösung
<b>Art der Anwendung</b>	intravenös
<b>Dosierung</b>	1x Woche mit 40 IU/kg [ $\pm$ 4 IU/kg] prophylaktische Dosierung mit 40 IU/kg [ $\pm$ 4 IU/kg] alle zwei Wochen* *Detaillierte Angaben zum Behandlungsschema besonderer Events sind in den Unterlagen zum Programm enthalten
<b>Medizinische Indikation</b>	Angeborene thrombotische thrombozytopenische Purpura
<b>Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige</b>	21.02.2024
<b>Laufzeit des Härtefall-Programms</b>	20.02.2025
<b>Verantwortliche Person</b>	Takeda GmbH

<b>(Firma) Kontaktperson</b>	Byk-Gulden-Straße 2 78467 Konstanz Deutschland Kontakt: Stephan Regensburger Email: <a href="mailto:stephan.regensburger@takeda.com">stephan.regensburger@takeda.com</a> Tel.-Nr. +4930206582238
------------------------------	--

## Arzneimittel Asunercept (APG101)

<b>Wirkstoff</b>	Asunercept (APG101), ein rekombinantes glykosyliertes Fusionsprotein
<b>Darreichungsform</b>	Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung
<b>Art der Anwendung</b>	intravenös
<b>Dosierung</b>	400 mg wöchentlich
<b>Medizinische Indikation</b>	Neu diagnostiziertes Glioblastom
<b>Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige</b>	23.06.2023
<b>Laufzeit des Härtefall-Programms</b>	22.06.2024
<b>Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson</b>	Apogenix GmbH Dr. Eike Buss Im Neuenheimer Feld 584 69120 Heidelberg Tel.: 06221-586080

## Arzneimittel Sotatercept

<b>Wirkstoff</b>	Fusionsprotein Sotatercept
<b>Darreichungsform</b>	Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung
<b>Art der Anwendung</b>	Subkutane Injektion
<b>Dosierung</b>	Sotatercept wird einmal alle 3 Wochen durch eine subkutane Injektion abhängig vom Körpergewicht des Patienten gegeben. <i>Empfohlene Initialdosis</i> Die Initialdosis von Sotatercept beträgt 0,3 mg/kg. <i>Empfohlene Zieldosis;</i> Die Zieldosis mit Sotatercept ist 0,7 mg/kg alle 3 Wochen.
<b>Medizinische Indikation</b>	Sotatercept ist zur Behandlung von pulmonaler arterieller Hypertonie (PAH) bei erwachsenen Patienten unter Therapiestandard mit der WHO-Funktionsklasse (FK) II bis III angezeigt.
<b>Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige</b>	20.12.2023
<b>Laufzeit des Härtefall-Programms</b>	19.12.2024

<b>Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson</b>	MSD Sharp & Dohme GmbH, Levelingstr. 4a, 81673, München, Germany Kontakt: Medizinisches Informationszentrum Tel: 0800 673 673 673 infocenter@msd.de
---	---

## Arzneimittel Efanesoctocog alfa

<b>Wirkstoff</b>	Efanesoctocog alfa
<b>Darreichungsform</b>	Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung
<b>Art der Anwendung</b>	Intravenöse Applikation
<b>Dosierung</b>	Das prophylaktische Behandlungsschema ist eine einmal wöchentliche (alle 7 Tage) Verabreichung von 50 I.E./kg Efanesoctocog alfa.
<b>Medizinische Indikation</b>	Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel).
<b>Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige</b>	26.01.2025
<b>Laufzeit des Härtefall-Programms</b>	25.01.2025
<b>Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson</b>	Swedish Orphan Biovitrum GmbH Fraunhoferstrasse 9a 82152 Martinsried (Vertreter von Swedish Orphan Biovitrum AB, SE-112 76 Stockholm Schweden)  Kontakt: Andrea Dümichen Mobil +49 151 162 412 07 Andrea.duemichen@sobi.com

## Arzneimittel Zolbetuximab

<b>Wirkstoff</b>	Zolbetuximab
<b>Darreichungsform</b>	Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung
<b>Art der Anwendung</b>	Intravenöse Anwendung
<b>Dosierung</b>	In Kombination mit Fluoropyrimidin- und platinhaltiger Chemotherapie, 800 mg/m <sup>2</sup> Zolbetuximab an Tag 1 des Zyklus 1, gefolgt von weiteren Dosen von 600 mg/m <sup>2</sup> alle 3 Wochen* * Ausführliche Informationen zum Behandlungsschema sind in den Programmunterlagen enthalten

<b>Medizinische Indikation</b>	Erstlinienbehandlung von erwachsenen Patienten mit lokal fortgeschrittenem, inoperablem oder metastasiertem HER2-negativem Adenokarzinom des Magens oder des gastroösophagealen Übergangs angezeigt, deren Tumore CLDN 18.2 positiv sind.
<b>Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige</b>	01.02.2024
<b>Laufzeit des Härtefall-Programms</b>	31.01.2025
<b>Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson</b>	Astellas Pharma Europe B.V. Sylviusweg 62 2333 BE Leiden Niederlande  Kontakt: Medizinischer Informations-Service <a href="mailto:med.de@astellas.com">med.de@astellas.com</a> +49(0)89 454401

**Kontakt:** [klinpruefung@pei.de](mailto:klinpruefung@pei.de)