

Liste der Härtefallprogramme des Paul-Ehrlich-Instituts

Stand 13.09.2021

Arzneimittel Anifrolumab

Wirkstoff	Monoklonaler Antikörper Anifrolumab
Darreichungsform	Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung
Art der Anwendung	Intravenöse Infusion
Dosierung	300 mg Anifrolumab, angewendet alle 4 Wochen als intravenöse Infusion über einen Zeitraum von 30 Minuten
Medizinische Indikation	Add-on-Therapie zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit moderatem bis schwerem systemischem Lupus Erythematosus (SLE), trotz Standard-Therapie
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	15.03.2021
Laufzeit des Härtefall-Programms	14.03.2022
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	AstraZeneca GmbH, Tinsdaler Weg 183, 22880 Wedel Tel.:0800/22 88 660; E-Mail: service.center@astrazeneca.com

Arzneimittel Lanadelumab

Wirkstoff	Monoklonaler Antikörper Lanadelumab
Darreichungsform	Lösung zur subkutanen Injektion in einer Konzentration von 150 mg/ml pro Durchstechflasche
Art der Anwendung	Subkutane Injektion
Dosierung	150-mg-Dosis, verabreicht entweder alle 2 Wochen oder alle 4 Wochen
Medizinische Indikation	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
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	30.03.2021
Laufzeit des Härtefall-Programms	29.03.2022
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	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 Amivantamab

Wirkstoff	Monoklonaler Antikörper Amivantamab
Darreichungsform	Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung 7 ml Durchstechflaschen mit 350 mg Amivantamab (50 mg Amivantamab pro ml)
Art der Anwendung	intravenöse Anwendung
Dosierung	Die empfohlene Dosis Amivantamab beträgt 1.050 mg bei Patienten mit einem Körpergewicht unter 80 kg und 1.400 mg bei Patienten mit einem Körpergewicht von 80 kg oder mehr. Amivantamab wird im ersten Zyklus, der 28 Tage dauert, einmal wöchentlich intravenös verabreicht. Nach Beendigung des ersten Zyklus erfolgt die weitere Applikation alle zwei Wochen. Die erste Dosis wird auf 2 Tage aufgeteilt
Medizinische Indikation	Monotherapie für die Behandlung erwachsener Patienten mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem nicht-kleinzelligem Bronchialkarzinom (NSCLC) mit EGFR Exon 20 Insertionsmutation nach Versagen einer Platin-haltigen Chemotherapie
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	15.04.2021
Laufzeit des Härtefall-Programms	14.04.2022
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	Janssen Pharmaceutica NV; Turnhoutseweg 30; 2340 Beerse, Belgien Kontakt in Deutschland: Janssen-Cilag GmbH, Medical Service Center: E-Mail: jancil@its.jnj.com Tel.: +49 2137-955-955 Fax.: +49 2137-955-443

Arzneimittel Retifanlimab

Wirkstoff	Monoklonaler Antikörper Retifanlimab
Darreichungsform	Konzentrat für Infusionslösung, 25mg/ml
Art der Anwendung	intravenöse Verabreichung
Dosierung	Intravenöse Verabreichung über 30 Minuten (-5/+15min) 500 mg alle 4 Wochen (Q4W)
Medizinische Indikation	Retifanlimab ist für die Behandlung von Patienten mit Plattenepithelkarzinom des Analkanals, die nach Platin-basierter Chemotherapie progredient sind, indiziert
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	11.05.2021
Laufzeit des Härtefall-	10.05.2022

Programms	
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	<p>Incyte Biosciences International SARL Rue Docteur-Yersin 10, CH-1110 Morges, Schweiz Dr. Karl Boegl, MD PhD MBA E-Mail: kboegl@incyte.com</p> <p>Europäischer Vertreter: Dr. Katrin Edmaier-Schröger, PhD Position: Country Medical Director Beziehung zur Verantwortlichen Person: Angestellter Adresse: Incyte Biosciences Germany GmbH, Fraunhoferstraße 9 D-82152 Planegg/Martinsried E-Mail: kedmaierschroeger@incyte.com Telefon: +49 89 203010 855</p>

Arzneimittel Sacituzumab Govitecan (IMMU-132)

Wirkstoff	Monoklonaler Antikörper Sacituzumab Govitecan
Darreichungsform	Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung
Art der Anwendung	Intravenöse Anwendung
Dosierung	Die empfohlene Dosis beträgt 10 mg/kg verabreicht als intravenöse Infusion einmal wöchentlich an Tag 1 und 8 der 21-tägigen Behandlungszyklen.
Medizinische Indikation	Inoperabler lokal fortgeschrittener oder metastasierter dreifach negativer Brustkrebs, gegen den die Patienten mindestens zwei vorangehende Therapien erhalten haben, darunter mindestens eine vorangehende Therapie für die lokal fortgeschrittene oder metastasierte Erkrankung
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	21.05.2021
Laufzeit des Härtefall-Programms	20.05.2022
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	<p>Verantwortliche Person: Gilead Sciences, Inc. 333 Lakeside Drive Foster City, CA 94404 USA</p> <p>Vertreter in der EU: Gilead Sciences Ireland UC IDA Business & Technology Park Carrigtohill Co. Cork Irland</p> <p>Kontaktdaten:</p>

	DEMedical.Information@gilead.com
--	----------------------------------

Arzneimittel Tebentafusp (IMCgp100)

Wirkstoff	Fusionsprotein Tebentafusp (IMCgp100)
Darreichungsform	Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung.
Art der Anwendung	Intravenöse Infusion
Dosierung	20 mcg C1D1; 30 mcg C1D8; 68 mcg C1D15 und nachfolgende Dosen (Jede Woche: Tag 1, 8 und 15 des 21-tägigen Zyklus)
Medizinische Indikation	HLA-A*02:01 positive Patienten mit metastasiertem Aderhautmelanom (mUM)
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	08.06.2021
Laufzeit des Härtefall-Programms	07.06.2022
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	<p>Immunocore, Ltd. 101 Park Drive, Milton Park Abingdon, OX14 4RY United Kingdom</p> <p>Lokaler Vertreter der EU: Dr Jessica Hassel, Universitätsklinikum Heidelberg Im Neuenheimer Feld 672 69120 Heidelberg Germany Phone: +4962215638503 Fax: +496221564798 jessica.hassel@med.uni-heidelberg.de</p>

Arzneimittel Efgartigimod

Wirkstoff	Monoklonaler Antikörper Efgartigimod
Darreichungsform	Konzentrat für Infusionslösung, 20 mg/mL
Art der Anwendung	Intravenöse Verabreichung
Dosierung	<p>Dosierung: Efgartigimod IV 10 mg/kg Körpergewicht</p> <p>Efgartigimod wird in Behandlungszyklen von 1-mal wöchentlichen Infusionen über 4 Wochen hinweg verabreicht (= 1 Behandlungszyklus).</p> <p>Weitere Behandlungszyklen können auf Basis der klinischen Beurteilung durch den behandelnden Arzt, jedoch frühestens 7 Wochen nach der ersten Infusion des vorherigen Behandlungszyklus initiiert werden.</p>
Medizinische Indikation	Erwachsene Patienten mit generalisierter Myasthenia gravis (gMG), die jedes der folgenden Kriterien erfüllen:

	<p>1. MGFA-Klassen IIIb, IVa oder IVb zum Zeitpunkt der Aufnahme</p> <p>2. Der Patient zeigt kein Ansprechen auf bestehende Behandlungen und erfüllt eines der folgenden Kriterien:</p> <ul style="list-style-type: none"> a. Unzureichendes Ansprechen (z. B. anhaltende mittelschwere bis schwere Schwäche) auf maximal sichere Steroiddosen und mindestens ein Immunsuppressivum bei angemessener Dosis und Dauer b. Schwere oder unerträgliche Nebenwirkungen von einer immunsuppressiven Therapie in Punkt 2a c. Begleiterkrankungen, die den Einsatz von Therapien in Punkt 2a einschränken d. Vorgeschichte von häufigen lebensbedrohlichen Ereignissen, die durch Myasthenia gravis verursacht wurden (z. B. myasthene Krisen; Lungenentzündung aufgrund von Dysphagie und immunsuppressiver Behandlung) <p>3. Des Weiteren ein unzureichendes klinisches Ansprechen (z. B. anhaltende mittelschwere bis schwere Schwäche) oder unerträgliche Nebenwirkungen, klinisch nicht in Frage kommende Patienten oder Kontraindikationen (basierend auf der Entscheidung des behandelnden Arztes) auf die Behandlung mit Therapien wie Eculizumab (bei AChR-Ab-positiven Patienten) regelmäßige IVIg, PLEX oder Immunadsorption oder Rituximab</p> <p>4. Der Patient ist nicht berechtigt oder in der Lage, an einer klinischen Studie teilzunehmen (basierend auf der Entscheidung des behandelnden Arztes)</p>
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	21.06.2021
Laufzeit des Härtefall-Programms	20.06.2022
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	<p>Name: argenx BV Adresse: Industriepark 7, 9052 Zwijnaarde, Belgien</p> <p>Europäischer Vertreter: Name: Jana Podhorna MD, Ph.D. Position: Senior Medical Director Verantwortlichen Person: Angestellte Adresse: Industriepark 7, 9052 Zwijnaarde, Belgien Telephone: +43 676 9335422 Email: jpodhorna@argenx.com</p>

Arzneimittel Spesolimab

Wirkstoff	Monoklonaler Antikörper Spesolimab
Darreichungsform	Infusionslösung
Art der Anwendung	Intravenöse Infusion

Dosierung	900 mg intravenös (i.v.), 2 Durchstechflaschen (2 x 450 mg) als Einmalgabe Option einer zweiten Gabe (900 mg i.v.) an Tag 8 (falls sich die Symptome des GPP-Schubs nicht hinreichend bessern)
Medizinische Indikation	Behandlung von Schüben der Generalisierten Pustulösen Psoriasis (GPP) bei Patienten, bei denen alternative konventionelle Therapien nicht in Betracht gezogen werden können (sogen. „high medical unmet need“)
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	03.08.2021
Laufzeit des Härtefall-Programms	02.08.2022
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	Elmar Daalman Boehringer Ingelheimer Pharma GmbH & Co. KG Binger Straße 173 55216 Ingelheim am Rhein E-Mail: X2SMEDWI@boehringer-ingelheim.com Tel.: +49 6132 77 90338 Fax: +49 6132 72 93310

Arzneimittel Padcev (Enfortumab Vedotin)

Wirkstoff	Monoklonaler Antikörper Enfortumab Vedotin
Darreichungsform	Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung
Art der Anwendung	Intravenöse Infusion
Dosierung	Die empfohlene Dosis von Enfortumab Vedotin beträgt 1,25 mg/kg (bis zu einem Maximum von 125 mg für Patienten ≥ 100 kg), verabreicht als intravenöse Infusion über 30 Minuten an den Tagen 1, 8 und 15 eines 28-tägigen Zyklus bis zur Progression der Erkrankung oder bis zum Auftreten inakzeptabler Toxizität
Medizinische Indikation	Behandlung von erwachsenen Patienten mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Urothelkarzinom, die eine platinhaltige Chemotherapie und einen Programmed Death Receptor-1 (PD-1) oder Programmed Death Ligand-1 (PD-L1) Inhibitor erhalten haben.
Datum des Zugangs der bestätigten Anzeige	06.08.2021
Laufzeit des Härtefall-Programms	05.08.2022
Verantwortliche Person (Firma) Kontaktperson	Verantwortliche Person: Astellas Pharma Europe B.V., Sylviusweg 62, 2333 BE Leiden, The Netherlands Kontaktdaten: medinfo.est-m@stellas.com

Kontakt: klinpruefung@pei.de