

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 21.01.2025

Casgevy® (Wirkstoff: Exagamglogen)

Befristete Zulassung in der Schweiz: 06.09.2024

Infusionsdispersion zur Behandlung von Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit Beta-Thalassämie (TDT) sowie von Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit Sichelzellerkrankung (SCD)

Über das Arzneimittel

Casgevy enthält den Wirkstoff Exagamglogen.

Casgevy ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Blutkrankheiten, die als Beta-Thalassämie und Sichelzellerkrankung bezeichnet werden, bei Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren angewendet wird.

Bei Beta-Thalassämie wird Casgevy bei Patientinnen und Patienten angewendet, die regelmässige Bluttransfusionen benötigen. Betroffene mit dieser Erkrankung bilden nicht genügend Hämoglobin, das Protein in den roten Blutkörperchen, das den Sauerstoff durch den Körper transportiert. Dadurch haben diese Patientinnen und Patienten geringe Konzentrationen an roten Blutkörperchen und benötigen häufig Bluttransfusionen.

Bei der Sichelzellerkrankung wird Casgevy bei Patientinnen und Patienten mit schwerer Erkrankung und wiederkehrenden schmerzhaften Krisen angewendet. Betroffene mit dieser Erkrankung haben eine abnorme Form von Hämoglobin, die dazu führt, dass die roten Blutkörperchen starr und klebrig werden und sich von scheiben- zu halbmondförmig (wie eine Sichel) ändern. Diese Zellen können Blutgefässe blockieren und

dadurch schmerzhaftes Krisen verursachen, die Brust, Bauch und andere Teile des Körpers betreffen.

Da es sich bei Beta-Thalassämie und der Sichelzellerkrankung um seltene und lebensbedrohliche Krankheiten handelt, wurde das Arzneimittel Casgevy als «Orphan Drug» zugelassen. Mit «Orphan Drug» werden wichtige Arzneimittel für seltene Krankheiten bezeichnet.

Swissmedic hat Casgevy gemäss Artikel 13 des Heilmittelgesetzes (HMG) zugelassen. Das bedeutet, dass das Arzneimittel bereits in mindestens einem anderen Land mit vergleichbarer Arzneimittelkontrolle zugelassen ist.

In diesem Fall berücksichtigt Swissmedic die Ergebnisse der von ausländischen Arzneimittelbehörden durchgeführten Prüfungen, sofern bestimmte Anforderungen erfüllt sind. Es geht um Prüfungen zur Qualität, Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels und inwieweit die Ergebnisse für die Schweiz übernommen werden können. Die Berücksichtigung der Ergebnisse ausländischer Zulassungsverfahren soll dazu beitragen, dass im Ausland bereits zugelassene

Arzneimittel den Patientinnen und Patienten in der Schweiz möglichst rasch zur Verfügung stehen.

Für die Zulassung von Casgevy in der Schweiz hat Swissmedic die Begutachtung und den Zulassungsentscheid der europäischen Arzneimittelbehörde EMA übernommen und lediglich eine begrenzte wissenschaftliche Begutachtung durchgeführt.

Somit verweist Swissmedic im SwissPAR (Swiss Public Assessment Report) und im daraus aufbauenden Kurzbericht Arzneimittelzulassung auf den öffentlich verfügbaren Beurteilungsbericht der Referenzbehörde:

EMA Procedure Number

EMA/H/C/005763/0000

www.ema.europa.eu.

Das Arzneimittel Casgevy wurde in der Schweiz befristet zugelassen (Art. 9a HMG), da zum Zeitpunkt der Zulassung noch nicht alle klinischen Studien vorliegen oder abgeschlossen waren. Die befristete Zulassung ist zwingend an die zeitgerechte Einreichung der von Swissmedic verlangten ergänzenden Daten gebunden. Nach Erfüllung dieser Zulassungsaufgaben kann die befristete Zulassung bei positiver Nutzen-Risiko-Bewertung der Resultate in eine Zulassung ohne besondere Auflagen überführt werden.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal:

[Fachinformation Casgevy®](#)

Information für Patientinnen und Patienten (Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Casgevy®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Kurzbericht Arzneimittelzulassung ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Medikaments beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.