

**MEDIA RELEASE • COMMUNIQUE AUX MEDIAS • MEDIENMITTEILUNG****Ein Jahr Kymriah® CAR-T-Zell-Therapie in Deutschland**

- Vor rund einem Jahr hat die Europäische Kommission die CAR-T-Zellen von Novartis für Patientinnen und Patienten mit bestimmten lebensbedrohlichen Blutkreberkrankungen und einer sehr eingeschränkten Überlebensperspektive in Deutschland zugelassen.
- Jede patientenindividuelle CAR-T-Zell-Infusion ist das Ergebnis eines individualisierten, innovativen Herstellungs- und Logistik-Prozesses, den Novartis gemeinsam mit dem Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie (IZI) in Leipzig etabliert hat.
- In Deutschland sind inzwischen mehr als 15 Kliniken<sup>1</sup> zertifiziert, die CAR-T-Zell-Therapie von Novartis durchzuführen.

**Leipzig / Nürnberg, 07.10.2019** - Vor gut einem Jahr – am 27. August 2018 – hat die Europäische Kommission die CAR-T-Zellen von Novartis in Deutschland zugelassen. Patientinnen und Patienten mit bestimmten lebensbedrohlichen Blutkreberkrankungen und einer sehr eingeschränkten Überlebensperspektive können seither erstmals durch die CAR-T-Zell-Therapie von Novartis eine Chance auf Lebensverlängerung erhalten. In Deutschland sind inzwischen mehr als 15 Kliniken<sup>1</sup> zertifiziert, diese Behandlung durchzuführen. In enger Kooperation hat Novartis mit dem Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie (IZI) einen komplexen Prozess für CAR-T-Zellen etabliert.

Bei der CAR-T-Zell-Therapie handelt es sich um eine immunerweiternde Therapie auf Basis der eigenen T-Zellen der jeweils behandelten Patienten. Dabei werden patienteneigene T-Zellen rekrutiert und über genetische Modifikation mit einer besonderen Immunkompetenz gegen Krebszellen ausgerüstet. Durch die anschließende Reintegration der CAR-T-Zellen in das Immunsystem können Krebszellen im Körper enttarnt und effektiv vernichtet werden. Damit ist die Therapie vollständig Fremdspender-unabhängig und bedarf vorab keiner kompletten Remission.

Von dieser Therapie können Patientinnen und Patienten mit zwei seltenen lebensbedrohlichen Erkrankungen profitieren:<sup>2</sup>

- Kinder und junge Erwachsene bis 25 Jahren mit rezidivierender oder refraktärer akuter lymphoblastischer Leukämie (r/r pALL).
- Erwachsene mit rezidivierendem oder refraktärem diffus großzelligen B-Zell-Lymphom (r/r DLBCL).

„Die CAR-T-Zell-Therapie steht für eine kleine Revolution in der Hämatologie“, fasst es **Prof. Dr. Uwe Platzbecker zusammen. Er ist Direktor der Medizinischen Klinik I, Hämatologie und Zelltherapie des Universitätsklinikums Leipzig.** Novartis kooperierte bereits während der Zulassungsstudien eng mit den deutschen Zentren.

**Patientenindividuelle CAR-T-Zell-Infusionen**

Jede patientenindividuelle CAR-T-Zell-Infusion ist das Ergebnis eines individualisierten, innovativen Herstellungs- und Logistik-Prozesses. Gemeinsam mit dem Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie (IZI) in Leipzig als renommiertem Partner hat Novartis diesen

neuartigen Herstellungsprozess für CAR-T-Zellen auch in Deutschland etabliert. „Mit Kymriah® ist Zell- und Gentherapie in der Patientenversorgung angekommen und wird sich in den kommenden Jahren als Säule in der Krebstherapie etablieren. Als Forschungsinstitut sind wir daher bestrebt, gemeinsam mit unseren Partnern weitere Anwendungsbereiche zu erschließen und die komplexen Prozessabläufe zu optimieren“, **kommentiert Prof. Dr. Ulrike Köhl, Institutsleiterin des Fraunhofer IZI.** „Über 80 qualifizierte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter produzieren in unseren 21 Reinraumsuiten am Standort Leipzig ein lebendiges Arzneimittel, das seine Wirkung über einen langen Zeitraum entfaltet. Umfangreiche Qualitätskontrollen bei jedem Produktionsschritt sorgen dabei für die Qualität der patientenspezifischen Präparate“, **ergänzt Dr. Gerno Schmiedeknecht, Leiter der Hauptabteilung Zell- und Gentherapie am Fraunhofer IZI.**

### **Mehr als 15 Kliniken<sup>1</sup> führen CAR-T-Zell-Therapie durch**

Novartis baut kontinuierlich ein engmaschiges Netzwerk aus hochqualifizierten Behandlungszentren auf. In Deutschland sind bisher mehr als 15 Kliniken<sup>1</sup> zertifiziert, die CAR-T-Zell-Therapie von Novartis durchzuführen. Diese Zentren erfüllen anspruchsvolle Kriterien wie fundierte Indikationsexpertise, umfassende Erfahrung mit den Prozessen komplexer Zelltherapien wie Stammzelltransplantationen sowie die Verfügbarkeit von Einrichtungen zum Management möglicher Nebenwirkungen.

### **Seit 15. September 2019: Erstattungsbetrag für die CAR-T-Zell-Therapie**

Am 15. September 2019 verständigten sich der GKV-Spitzenverband und Novartis auf einen Erstattungsbetrag für die CAR-T-Zell-Therapie. Der Betrag reflektiert den hohen Innovationsgrad und klinischen Wert für Patienten mit DLBCL und pALL unter Berücksichtigung von Wirtschaftlichkeitsaspekten. „Wir freuen uns, dass wir uns in offenen und konstruktiven Gesprächen mit dem GKV-Spitzenverband auf einen Erstattungsbetrag für die CAR-T-Zell-Therapie einigen konnten“, **erläutert Markus Karmasin, Leiter des Geschäftsbereichs Zell- und Gentherapie bei Novartis Onkologie in Deutschland, Novartis Pharma GmbH** „Der Abschluss sowohl der Preisverhandlung zwischen dem GKV-Spitzenverband und Novartis sowie der Verhandlung von Entgelten für Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden (NUB) zwischen den Krankenhäusern und Krankenkassen machen den Weg frei für die Versorgung der Patienten.“

### **Neue Definition für Krebs**

Die CAR-T-Zell-Therapie gehört zu den vier innovativen Ansätzen, um Krebserkrankungen zu behandeln. Novartis setzt als einziges Unternehmen auf alle vier Therapieplattformen: zielgerichtete Therapien, die Immunonkologie sowie die immunerweiternde Zelltherapie und Radionuklidtherapie. Denn das Ziel von Novartis ist, mit der Kombination dieser innovativen Behandlungsstrategien die Erkrankung Krebs neu zu definieren und so die Therapie – zumindest bei einigen Krebsarten – zu revolutionieren.

### **Weitere Informationen** zur CAR-T-Zell-Therapie finden Sie unter:

<https://www.novartis.de/stories/entdecken/wie-die-car-t-zell-therapie-funktioniert> und  
<https://www.novartis.com/news/media-events/rd-media-day-2019>

### **Über die CAR-T Zelltherapie<sup>3, 4</sup>**

Die CAR-T Zelltherapie ist eine neuartige Krebsimmuntherapie. Sie nutzt körpereigene T-Zellen des Patienten, um bestimmte Krebsarten zu bekämpfen. Dazu werden die Zellen mittels Leukapherese entnommen und in vitro gentechnisch so umprogrammiert, dass sie mittels ihres chimären Antigenrezeptors Krebszellen und andere Zellen erkennen, die ein spezielles Antigen auf der Zelloberfläche tragen. Nach einer lymphodepletierenden Chemotherapie werden die umprogrammierten Zellen per Infusion dem Patienten wieder zurückgegeben, wo sie sich vermehren und die Immunreaktion starten können.

### **Über Kymriah® (Tisagenlecleucel)<sup>2</sup>**

Im August 2017 wurde mit Kymriah® (Tisagenlecleucel) die erste CAR (chimeric antigen receptor)-T Zelltherapie in den USA verfügbar. Kymriah® erhielt die FDA-Zulassung für Kinder und junge Erwachsene bis zu 25 Jahren mit akuter lymphatischer B-Zell-Leukämie, die therapierefraktär oder

mindestens zwei Mal rezidiert ist, sowie im Mai 2018 für erwachsene Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem diffus großzelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL) nach zwei oder mehr systemischen Therapielinien. Es handelt sich um eine einmalig zu verabreichende innovative Immuntherapie, bei der die eigenen gentechnisch veränderten Zellen des Patienten im Kampf gegen die Krebszellen eingesetzt werden. Kymriah® nutzt die co-stimulatorische 4-1BB-Domäne als Teil des chimären Antigen-Rezeptors, um die Expansion und Persistenz der Zellen zu steigern.

### **Über Novartis**

Novartis will neue Wege finden, um Menschen zu einem längeren und besseren Leben zu verhelfen. Als ein führendes globales Pharmaunternehmen nutzen wir wissenschaftliche Innovationen und digitale Technologien, um bahnbrechende Therapien in Bereichen mit großem medizinischen Bedarf zu entwickeln. Dabei gehören wir regelmäßig zu jenen Unternehmen, die weltweit am meisten in Forschung und Entwicklung investieren. Die Produkte von Novartis erreichen global mehr als 750 Millionen Menschen, und wir suchen nach neuen Möglichkeiten, den Zugang zu unseren neuesten Therapien zu erweitern. Weltweit sind bei Novartis rund 105 000 Menschen aus mehr als 140 Nationen beschäftigt. Weitere Informationen finden Sie im Internet unter <http://www.novartis.com>.

### **Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie IZI**

Das Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie IZI erforscht und entwickelt spezielle Problemlösungen an den Schnittstellen von Medizin, Biowissenschaften und Ingenieurwissenschaften. Eine der Hauptaufgaben besteht dabei in der Auftragsforschung für biotechnologische, pharmazeutische und medizintechnische Unternehmen, Kliniken, Diagnostische Labore sowie Forschungseinrichtungen. Innerhalb der Geschäftsfelder Wirkstoffe, Zell- und Gentherapie und Diagnostik entwickelt, optimiert und validiert das Fraunhofer IZI Verfahren, Materialien und Produkte. Die Kompetenzen liegen in den Bereichen Zellbiologie, Immunologie, Wirkstoffbiochemie, Bioanalytik, Bioproduktion sowie Prozessentwicklung und Automatisierung. Im Forschungsmittelpunkt stehen dabei die Indikationsbereiche Onkologie, immunologische Erkrankungen, Infektionskrankheiten sowie neurodegenerative Erkrankungen.

<sup>1</sup>: Stand: September 2019

<sup>2</sup>: Novartis Pharma, Fachinformation (Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels/SmPC), Kymriah® 1,2 x 10<sup>6</sup> bis 6 x 10<sup>8</sup> Zellen Infusionsdispersion, Stand: September 2018

<sup>3</sup> Abken H. CAR-T Zellen: Wie Designer-Immunzellen gegen den Krebs scharfgemacht werden können. Trillium Immunologie 2017; 1(1):43-47.

<sup>4</sup> Tran E et al. A Milestone for CAR T Cells. New Engl J Med 2017. DOI: 10.1056/NEJMe1714680.

###

### **Kontakt**

#### **Doris Madlberger**

Head External Affairs, Patient Relations & Communications Oncology  
Novartis Pharma GmbH

Tel. +49 911 273 12940  
[doris.madlberger@novartis.com](mailto:doris.madlberger@novartis.com)

#### **Jens Augustin**

Leiter Presse- und Öffentlichkeitsarbeit  
Fraunhofer-Institut für Zelltherapie und Immunologie IZI

Tel: +49 341 35536 9320  
[jens.augustin@izi.fraunhofer.de](mailto:jens.augustin@izi.fraunhofer.de)