

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
 Compassionate Use Programs in Austria (AT)**

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
<p>Tabrecta (Capmatinib) 100 mg, 150mg und 200 mg Filmtabletten</p> <p><i>Tabrecta (Capmatinib) 100 mg, 150mg und 200 mg film-coated tablets</i></p>	<p>Nichtkleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC) mit MET Exon 14 Skipping Mutation</p> <p><i>Non-Small Cell Lung Cancer (NSCLC) with MET Exon 14 Skipping Mutation</i></p>	NA	30.5.2021	<p>Laufend</p> <p><i>Ongoing</i></p>	<p>Verantwortlich: Novartis Pharma GmbH Jakov-Lind-Straße 5/Top 3.05 1020 Wien Österreich</p> <p>Kontaktdaten: Mag. Bernhard Mraz Medical Director Oncology E-Mail: bernhard.mraz@novartis.com Tel.: +43 664 88281342</p>
<p>Cenobamat 12,5 mg Tabletten und 25 mg, 50 mg, 100 mg, 150 mg und 200 mg Filmtabletten</p> <p><i>Cenobamate uncoated tablets 12.5 mg and film-coated tablets 25 mg, 50 mg, 100 mg, 150 mg, and 200 mg</i></p>	<p>Zusatzbehandlung von fokalen Anfällen mit oder ohne sekundäre Generalisierung bei erwachsenen Patienten mit Epilepsie, die trotz einer Vorgeschichte der Behandlung mit mindestens 2 Antiepileptika nicht ausreichend kontrolliert ist</p> <p><i>adjunctive treatment of focal onset seizures with or without secondary generalisation in adult patients with epilepsy who have not been adequately controlled despite a history of treatment with at least 2 anti-epileptic products</i></p>	NA	28.1.2021	<p>Beendet</p> <p><i>Closed</i></p>	<p>Verantwortlich: Arvelle Therapeutics Netherlands BV Johannes Vermeerplein 9, 1071 DV Amsterdam, The Netherlands</p> <p>Kontaktdaten: Mr. Thomas Smith Durbin PLC, Unit 5, Swallowfield Way, Hayes, Middlesex, B3 1DQ, UK Email address: T.Smith@Durbinglobal.com Cenobamate@DurbinGlobal.com</p>

Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview Compassionate Use Programs in Austria (AT)

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
<p>Risdiplam 0,75 mg/mL Pulver zur Zubereitung einer oralen Lösung</p> <p><i>Risdiplam 0.75 mg/mL powder for oral solution</i></p>	<p>Für Patienten mit SMA Typ 1 (AG41381) und SMA Typ 2 (AG42025). Alter über 2 Monate.</p> <p><i>For patients with spinal muscular atrophy (SMA) Type 1 (AG41381) and SMA Type 2 (AG42025). Age from 2 months.</i></p>	<p>NA</p>	<p>19.1.2021</p>	<p>Beendet</p> <p><i>Closed</i></p>	<p>Priv.-Doz. Dr. Johannes Pleiner-Duxneuner Medical Director Roche Austria GmbH Engelhorngasse 3 1211 Wien Tel.: +43 664 88300687 johannes.pleiner-duxneuner@roche.com</p>
<p>Lurbinectedin lyophilisiertes Pulver als Konzentrat für die Infusionslösung</p> <p>Lurbinectedin lyophilized powder for concentrate for solution for infusion</p>	<p>Erwachsene mit fortgeschrittenem kleinzelligem Lungenkrebs (SCLC) und Progression der Erkrankung bei / oder nach einer Chemotherapie auf Platinbasis</p> <p><i>Adults with advanced small cell lung cancer (SCLC) with disease progression on / or after platinum-based chemotherapy</i></p>	<p>NA</p>	<p>19.11.2020</p>	<p>Laufend</p> <p><i>Ongoing</i></p>	<p>Mag. Julia Zekely Head of Medical Affairs Austria & Switzerland PharmaMar GesmbH Austria</p> <p>jzekely@pharmamar.at Tel.: +43 (0)1 253 016 2353 Fax: +43 (0)1 230 60 3119</p>

Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview Compassionate Use Programs in Austria (AT)

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
Remdesivir injection 5mg/mL (solution) + Remdesivir for injection, 100mg and 150mg (lyophilized)	<p>Für die Behandlung von erwachsenen und pädiatrischen Patienten ab 12 Jahren mit einem Gewicht von mindestens 40 kg mit schwerem COVID-19 (d.h. Krankenhausaufenthalt mit zusätzlichem Sauerstoff, nicht-invasiver Beatmung, Sauerstoffgeräten mit hohem Durchfluss, invasiver mechanischer Beatmung oder [V-V] ECMO), bestätigt durch Polymerasekettenreaktion (PCR) oder bei denen ein Kontakt mit einem bestätigten Fall von COVID-19 bekannt ist, wobei die PCR noch aussteht</p> <p><i>For the treatment of adult and paediatric patients from 12 year of age weighing at least 40 kg with severe COVID-19 (hospitalization requiring supplemental oxygen, non-invasive ventilation, high-flow oxygen devices, invasive mechanical ventilation, or [V-V] ECMO), confirmed by Polymerase chain reaction (PCR) or who have known contact with a confirmed case of COVID-19, with PCR pending</i></p>	Link	17.4.2020	Beendet Closed	Dr. Evelyne Ellinger Director Medical Affairs +43 1 260 8322 evelyne.ellinger@gilead.com
Solnatide 25 mg Pulver zur Rekonstitution einer Inhalationslösung <i>Solnatide 25 mg powder for reconstitution for solution for inhalation</i>	Behandlung des pulmonalen Ödems bei COVID-19 PatientInnen mit schwerem akutem Lungenversagen (ARDS) <i>Treatment of Acute Respiratory Distress Syndrome (ARDS) caused by severe COVID-19</i>	NA	6.4.2020	Laufend Ongoing	Prof. Dr. Bernhard Fischer APEPTICO Forschung und Entwicklung GmbH Tel.: +43-664-1432919 Fax.: +43-1-25330337795 Mail: b.fischer@apeptico.com

Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview Compassionate Use Programs in Austria (AT)

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
Kombinationstabletten mit festgelegter Dosierung aus Elexacaftor (VX-445)/ Tezacaftor/Ivacaftor (jede Tablette enthält 100 mg VX-445, 50 mg TEZ und 75 mg IVA) und Ivacaftor-Tabletten (150 mg) <i>VX-445/tezacaftor/ ivacaftor 100 mg/ 50 mg/ 75 mg fixed-dose combination tablets</i>	PatientInnen ab 12 Jahren mit zystischer Fibrose, die homozygot bezüglich der F508del-Mutation sind <i>Patients 12 Years of Age and Older With Cystic Fibrosis Who Are Homozygous for F508del</i>	NA	20.3.2020	Beendet Closed	Dr. Tamás Velich Medical Director, Medical Affairs (Intl) Vertex Pharmaceuticals GmbH Email: Tamas_Velich@vrtx.com Tel: +43 1 20524704

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
 Compassionate Use Programs in Austria (AT)**



Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
AVXS-101	<p>AVXS-101 (onasemnogene abeparvovec) ist eine Adeno-assoziierte Virusvektor-basierte Gentherapie, indiziert für die Behandlung von Kindern unter 2 Jahren, die an Spinaler Muskel-Atrophie (SMA) Typ 1, mit bi-alleler Mutation am Survival Motor Neuron 1 (SMN1) Gen leiden und 2 Kopien des Survival Motor Neuron 2 (SMN2) Gens haben.</p> <p><i>AVXS-101 (onasemnogene abeparvovec) is an adeno-associated virus vector-based gene therapy indicated for the treatment of paediatric patients less than 2 years of age with spinal muscular atrophy (SMA) typ 1 with bi-allelic mutations in the survival motor neuron 1 (SMN1) gene and 2 copies of SMN2.</i></p>	NA	28.1.2020	Beendet <i>Closed</i>	Dr. Hardo Fischer Exec. Regional Med. Dir. EMS South hfischer326@avexis.com Mobile: +43 664 8270002

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
 Compassionate Use Programs in Austria (AT)**

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
Kombinationstabletten mit festgelegter Dosierung aus VX-445/ Tezacaftor/Ivacaftor (jede Tablette enthält 100 mg VX-445, 50 mg TEZ und 75 mg IVA) und Ivacaftor-Tabletten (150 mg) <i>VX-445/tezacaftor/ivacaftor 100 mg/ 50 mg/ 75 mg fixed-dose combination tablets</i>	PatientInnen ab 12 Jahren mit zystischer Fibrose, die heterozygot bezüglich der F508del- und einer CFTR-Mutation mit Minimalfunktion sind <i>Patients 12 Years of Age and Older With Cystic Fibrosis Who Are Heterozygous for F508del and a Minimal Function CFTR Mutation</i>	NA	10.10.2019	Beendet <i>Closed</i>	Dr. Tamás Velich Medical Director, Medical Affairs (Intl) Vertex Pharmaceuticals GmbH Email: Tamas_Velich@vrtx.com Tel: +43 1 20524704
Siponimod 0,25mg, 1,0mg und 2,0mg <i>Siponimod 0,25mg, 1,0 mg und 2,0mg film-coated tablets</i>	Sekundär progrediente Multipler Sklerose (SPMS) <i>Secondary Progressive Multiple Sclerosis</i>	NA	31.07.2019	Beendet <i>Closed</i>	Dr.Johannes Ulleram Therapeutic Area Head Neuroscience E-Mail: johannes.ulleram@novartis.com Tel: +43 1 86657 6507
Piqray (Alpelisib) 50 mg und 200 mg Filmtabletten <i>Piqray (Alpelisib) 50 mg and 200 mg film-coated tablets</i>	PatientInnen mit HR-positivem, HER2-negativem fortgeschrittenem Brustkrebs mit mutierter Phosphoinositid-3-Kinase bei denen es während oder nach der Behandlung mit Aromatasehemmern zu einer Progression kam <i>Patients with HR-positive, HER2-negative advanced breast cancer with mutated phosphoinositide 3-kinase who progressed on or after AI treatment</i>	NA	17.05.2019	Beendet <i>Closed</i>	Mag. Bernhard Mraz, Medical Director Oncology E-Mail: bernhard.mraz@novartis.com , Tel: +43 664 88281342

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
 Compassionate Use Programs in Austria (AT)**

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
<p>Niraparib 100 mg Kapseln</p> <p><i>Niraparib 100 mg capsules</i></p>	<p>Patientinnen mit wiederkehrendem platin-sensiblen Eierstockkrebs</p> <p><i>Patients with platinum sensitive recurrent ovarian cancer</i></p>	NA	17.8.2017	<p>Beendet</p> <p><i>Closed</i></p>	<p>TESARO Bio Germany GmbH Dr. Andreas Konieczny akonieczny@tesarobio.com 0049 175 2088468</p>
<p>TAS-102 / Trifluridin-Tipiracil Filmtabletten</p> <p>TAS-102 / Trifluridine-Tipiracil film-coated tablets</p>	<p>Erwachsene PatientInnen mit metastasierenden kolorektalen Karzinomen, die zuvor mit bereits verfügbaren oder sich Entwicklung in befindlichen Therapien behandelt worden sind, einschließlich Fluoropyrimidin-, Oxaliplatin- und Irinotecan-basierten Chemotherapien, Anti-VEGF Therapie, und Anti-EGFR Therapie</p> <p><i>Adult patients with metastatic colorectal cancer who have been previously treated with, or are not candidates for, available therapies including fluoropyrimidine-, oxaliplatin- and irinotecan-based chemotherapies, anti-VEGF agents, and anti-EGFR agents</i></p>	NA	10.03.2016	<p>Beendet</p> <p><i>Closed</i></p>	<p>Servier Austria GmbH, Mag. Katrin Winkler katrin.winkler@servier.com 0043 6646254914</p>

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
 Compassionate Use Programs in Austria (AT)**

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
<p>Lumacaftor/Ivacaftor 200 mg/125 mg Filmtabletten</p> <p><i>Lumacaftor/Ivacaftor 200mg/125 mg film-coated tablets</i></p>	<p>Patienten mit zystischer Fibrose ab 12 Jahren, die homozygot für die F508del-CFTR Mutation sind</p> <p><i>Patients 12 years of age and older with cystic fibrosis who are homozygous for the F508del- CFTR Mutation</i></p>	<p>Link</p>	<p>26.11.2015</p>	<p>Beendet</p> <p><i>Closed</i></p>	<p>Vertex Pharmaceuticals GmbH, Dr. Paul Grundtner paul_grundtner@vrtx.com 0043 1 205107 3032</p>
<p>LCZ696 50/100/200 mg Filmtabletten</p> <p><i>LCZ696 50/100/200 mg Film coated tablet</i></p>	<p>Chronische Herzinsuffizienz bei Patienten mit reduzierter Ejektionsfraktion des linken Ventrikels (HF-rEF)</p> <p><i>Chronic heart failure in patients with reduced left ventricular ejection fraction (HF-rEF)</i></p>	<p>NA</p>	<p>18.12.2014</p>	<p>Beendet</p> <p><i>Closed</i></p>	<p>Novartis Pharma GmbH Dr. Julia Kattlun julia.kattlun@novartis.com 0043 1 86657 6511</p>

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
 Compassionate Use Programs in Austria (AT)**

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
Ceritinib 150 mg Hartkapseln <i>Ceritinib 150 mg capsules</i>	ALK-positives nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC) bei mit Crizotinib oder einem anderen ALK-Inhibitor vortherapierten Patienten/Patientinnen <i>ALK-positive non-small cell lung cancer (NSCLC) in patients that have been previously treated with Crizotinib or any other ALK-inhibitor</i>	NA	17.12.2014	Beendet <i>Closed</i>	Novartis Pharma GmbH Austria Dr. Gesine Enderle gesine.enderle@novartis.com 0043 664 827 8639
Ramucirumab (10 mg/ml Konzentrat zur Herstellung einer IV Infusionslösung) <i>Ramucirumab (10 mg/ml concentrate for solution for IV infusion)</i>	Metastasiertes Adenokarzinom des Magens oder des ösophagogastralen Übergangs nach Fortschreiten der Erkrankung nach einer vorangegangenen fluoropyrimidin- und/oder platinhaltigen Chemotherapie; <i>Metastatic gastric or gastroesophageal junction adenocarcinoma following disease progression after prior fluoropyrimidine and/or platinum-containing chemotherapy</i>	NA	26.06.2014	Beendet <i>Closed</i>	Eli Lilly and Company Lilly Deutschland GmbH Dr. Beate Schmitt-Bormann schmitt_bormann_beate@lilly.com 0049 6172 237-2526
Daclatasvir 30 und 60 mg Filmtabletten; <i>Daclatasvir 30 and 60 mg film coated tablet</i>	Daclatasvir in Kombination mit Sofosbuvir +/- Ribavirin, für Genotyp 1 Patienten über 18 Jahren mit chronischer Hepatitis C Infektion und hohem Dekompensationsrisiko; <i>Daclatasvir for the use in combination with sofosbuvir +/- ribavirin, for genotype 1 patients above 18 years of age and are at a high risk of decompensation</i>	Link	07.04.2014	Beendet <i>Closed</i>	Bristol-Myers Squibb Marajesus.Jimenezexposito@bms.com 0033 1 58 83 69 11

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
 Compassionate Use Programs in Austria (AT)**

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
AV0113 (TRIVAX)	Zellbasierte Tumorthherapie Glioblastoma multiforme; <i>Cell based tumor therapy Glioblastoma multiforme</i>	NA	31.10.2013	Beendet <i>Closed</i>	Thomas Felzmann, MD, MBA CSO, Activartis Biotech GmbH Associate Professor of Immunology, Medical University Wien Zimmermannplatz 10, 1090 Wien, Austria Phone: +43 664 4367730 E-Mail: thomas.felzmann@activartis.com
TMC 207	<i>Extensively drug resistant (XDR) or pre-XDR Mycobacterium tuberculosis (MTB) Pulmonary Infection</i>	NA	14.05.2013	Beendet <i>Closed</i>	Janssen Cilag Pharma GmbH Dr. Lydia Semlin lsemlin2@its.jnj.com 0043 (1) 610 300
Lutathera®, [177]Lutetium- DOTA[0]-Tyr[3]- Octreotate	Inoperable oder metastasierende Somatostatin-Rezeptor-positive gastro-entero-pankreatische neuroendokrine Tumore (GEP-NET); <i>Inoperable or metastasizing somatostatin-receptor-positive gastro-entero-pancreatic neuroendocrine tumours (GEP-NET)</i>	NA	03.04.2013	Beendet <i>Closed</i>	BSM Diagnostica Gesellschaft m.b.H. Dr. Susanne Dorudi 0043 (1) 406 9565-0
Teriflunomid; Aubagio® 14mg Filmtabletten <i>Aubagio® 14mg film-coated tablets</i>	Schubförmige Multiple Sklerose; <i>Relapsing multiple sclerosis</i>	NA	05.03.2013	Beendet <i>Closed</i>	sanofi-aventis GmbH silvia.knoll@genzyme.com 0043 (1) 80185 – 1908

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
 Compassionate Use Programs in Austria (AT)**

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
Dolutegravir (DTG, GSK1349572) 50mg Tabletten <i>Dolutegravir (DTG, GSK1349572) 50mg tablets</i>	Immunodeficiency Virus (HIV)-1 Infektion in Patienten mit Raltegravir (RAL) oder Elvitegravir (ELV) Resistenz mit limitierten Therapiemöglichkeiten, die neuer Arzneimittel für eine wirksame antivirale Therapie bedürfen. <i>Human Immunodeficiency Virus (HIV)-1 infection in patients with raltegravir (RAL) or elvitegravir (ELV) resistance who have limited treatment options and are in need of new drugs to construct an effective antiviral regimen</i>	NA	27.07.2012	Beendet <i>Closed</i>	ViiV Healthcare 0044 20 8 380 6230
Dacogen Decitabine 50 mg powder for injection	Patienten ≥65 Jahre mit neu diagnostizierter de novo oder sekundärer akuter myeloischer Leukämie gemäß WHO Klassifizierung; <i>Patients ≥65 years with newly diagnosed de novo or secondary acute myeloid leukemia according to WHO classification</i>	NA	18.05.2012	Beendet <i>Closed</i>	Janssen Cilag GmbH isauerza@its.jnj.com 0044 1932 824123
Tamiflu IV - Oseltamivir phosphate - 100mg - Powder for solution for infusion		Link	30.12.2010	Beendet <i>Closed</i>	Roche Austria GmbH austria.dra@roche.com Fax: 0043 (0) 1 27739-254

**Überblick Compassionate Use Programme (CUP) in Österreich (AT) / Overview
Compassionate Use Programs in Austria (AT)**

Produktname Product name	CUP - Anwendungsgebiet / Indication	CHMP Opinion	Authorisation in AT	Status	Company contact
IV Zanamivir 10 mg/ml - solution for infusion		Link	10.09.2010	Beendet <i>Closed</i>	GSK - GlaxoSmithKline Pharma GmbH Mag. med. vet. Martina Weiss Medical Manager Euro Plaza, Gebäude I, 4. Stock 1120 Wien, Wagenseilgasse 3 martina.x.weiss@gsk.com Mobile +43 664 827 00 70 Tel +43 1 970 75 415