

CHMP empfiehlt Zulassung von Belumosudil zur Behandlung der chronischen Graft-versus-Host-Erkrankung (cGvHD)

Frankfurt am Main, 5. Februar 2026. Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) empfiehlt in einer positiven Stellungnahme die bedingte Zulassung (Conditional Marketing Authorisation) des ROCK2-Inhibitors Belumosudil zur Behandlung von Erwachsenen und Kindern ab 12 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg mit chronischer Graft-versus-Host-Erkrankung (cGvHD), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden. Die positive Empfehlung folgt auf Sanofis Antrag auf erneute Prüfung der zuvor negativen Stellungnahme, die vom CHMP im Oktober 2025 bekanntgegeben wurde. Die endgültige Entscheidung der Europäischen Kommission wird in den kommenden Wochen erwartet.¹

*„cGvHD kann zahlreiche Organe betreffen. Die Patient*innen sind in ihrem Alltag oft stark beeinträchtigt und durch die Erkrankung in ihren täglichen Aktivitäten eingeschränkt – das ist eine erhebliche emotionale Belastung“, erklärte **Prof. Dr. Mohamad Mohty**, Leiter der Abteilung für Hämatologie und Zelltherapie, Hôpital Saint-Antoine, Sorbonne Université, Paris. „Für Patient*innen, die die zugelassenen Behandlungsoptionen ausgeschöpft haben, bedeutet die positive Stellungnahme des CHMP einen wichtigen Schritt, um diese herausfordernde Krankheit besser behandeln zu können.“*

*„Angesichts der begrenzten Behandlungsoptionen in späteren Therapielinien haben wir eine Überprüfung der CHMP-Stellungnahme beantragt und uns verpflichtet, nach der Zulassung eine neue Studie durchzuführen, um die bisherigen klinischen Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit von Belumosudil, die für die europäische Patientenpopulation vorliegen, zu bestätigen“, sagte **Olivier Charmeil**, Executive Vice President, General Medicines, Sanofi. „Wir setzen unser Engagement für eine bessere Versorgung bei cGvHD fort und begrüßen die positive CHMP-Stellungnahme, die uns der Zulassung einer neuen Behandlungsoption für erwachsene und jugendliche cGvHD-Patient*innen in der EU einen Schritt näherbringt.“*

Die positive CHMP-Empfehlung basiert auf den Ergebnissen mehrerer klinischer Studien, darunter die randomisierte, multizentrische Phase-II-Studie ROCKstar, sowie Real-World-Evidence (RWE). In der ROCKstar-Phase-II-Studie erzielte Belumosudil ein klinisch relevantes und anhaltendes Ansprechen bei Patient*innen mit cGvHD nach Stammzelltransplantation, die mindestens zwei vorherige systemische Therapielinien erhalten hatten.^{2, 3} Die Behandlung wurde im Allgemeinen gut vertragen.^{2, 3} Im Rahmen der positiven Stellungnahme des CHMP zur bedingten Zulassung von Belumosudil wird Sanofi zudem eine randomisierte, kontrollierte Studie durchführen, um diese Ergebnisse zu bestätigen.

Belumosudil ist in 20 Ländern zugelassen, darunter in den USA, Großbritannien und Kanada, für die Behandlung von Patient*innen ab 12 Jahren mit cGvHD nach Versagen von mindestens zwei vorherigen systemischen Therapielinien sowie in China nach Versagen einer vorherigen systemischen Therapielinie. Seit der ersten Zulassung von Belumosudil in den USA im Juli 2021 wurden weltweit mehr als 17.000 cGvHD-Patient*innen mit Belumosudil behandelt.

Über Belumosudil

Belumosudil ist ein selektiver Inhibitor der Rho-assoziierten Proteinkinase 2 (ROCK2). Studien haben gezeigt, dass Belumosudil bei unterschiedlichen Patientenpopulationen mit chronischer Graft-versus-Host-Disease (cGvHD) nach mindestens zwei vorangegangenen systemischen Therapien wirksam sein kann.

Sanofi untersucht die Sicherheit und Wirksamkeit von Belumosudil in weiteren Altersgruppen und Indikationen. Aktuell laufen Studien zu Belumosudil zur Behandlung pädiatrischer Patient*innen im Alter ≥ 1 Jahr mit cGvHD, die zuvor mindestens zwei systemische Therapien erhalten haben, sowie zur Behandlung von Patient*innen mit chronischer Lungenallograft-Dysfunktion. In diesen zusätzlichen Indikationen befindet sich Belumosudil derzeit in klinischer Prüfung und ist nicht zugelassen.

Über die ROCKstar-Studie

Die offene, nicht-kontrollierte, randomisierte, multizentrische Phase-II-Studie ROCKstar untersuchte die Wirksamkeit und Sicherheit von Belumosudil bei Patient*innen mit cGvHD, die zwei bis fünf vorangegangene systemische Therapielinien erhalten hatten.² Eine Auswertung der ROCKstar-Studie mit einem Follow-up von drei Jahren prüfte die anhaltende Wirksamkeit von Belumosudil.³

In der ROCKstar-Studie erhielten die Studienteilnehmer*innen Belumosudil 200 mg bis zur klinisch signifikanten Progression der cGvHD oder inakzeptabler Toxizität. Der primäre Endpunkt war die Gesamtansprechrate (ORR).²

Belumosudil führte zu einer klinisch bedeutsamen und statistisch signifikanten ORR von 74 % (n = 77, 95%-Konfidenzintervall [KI]: 63–83).³ Zu den häufigsten Nebenwirkungen zählten Fatigue (46 %), Diarrhoe (35 %), Übelkeit (35 %), Dyspnoe (32 %), Husten (30 %) und Infektionen der oberen Atemwege (26 %).²

Über die chronische Graft-versus-Host-Erkrankung (cGvHD)

Die cGvHD ist eine lebensbedrohliche immunologische Reaktion, die als häufige Komplikation nach einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation (alloHSCT) auftreten kann.⁴⁻⁶ Dabei greifen die Spenderzellen (Graft) die Zellen des Empfängers (Host) an, was zu Inflammation und Fibrose (Vernarbung oder Verdickung) und so zur Schädigung von Gewebe und Organen führen kann.⁵ cGvHD betrifft bis zu 50 Prozent der Patient*innen, die eine alloHSCT erhalten haben.⁴ Die cGvHD gilt als eine der Hauptursachen für Morbidität und späte therapiebedingte Mortalität (nonrelapse mortality; NRM) nach einer alloHSCT.^{2, 7} Die Erkrankung hat sowohl physisch als auch emotional tiefgreifende Auswirkungen und weitreichende sozioökonomische Folgen.^{6, 8}

Die englische Originalversion der Pressemitteilung ist [hier abrufbar](#).

Referenzen

1 <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/rezurock>

2 Cutler C et al. Blood 2021; 138(22): 2278–2289.

3 Lee SJ et al. Transplant Cell Ther 2024; 30(2): S262–263.

4 Horwitz M, Sullivan K. Blood Reviews 2006; 20(1): 15–27.

5 <https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines/graft-versus-host-erkrankung-chronisch/@@guideline/html/index.html>

6 Lee SJ, Vogelsang G, Flowers ME. Biol Blood Marrow Transplant 2003; 9: 215–233.

7 Wolff D et al. Dtsch Arztebl Int 2011; 108(43): 732–40.

8 Schain F et al. Eur J Health Econ 2021; 22(1): 169–180.

Über Sanofi

Sanofi ist ein forschendes Biopharma-Unternehmen, das KI anwendet und sich dafür einsetzt, das Leben der Menschen zu verbessern und verantwortungsvoll zu wachsen. Wir wenden unser tiefgreifendes Verständnis des Immunsystems an, um weltweit Millionen von Menschen lebensrettende Impfstoffe und Behandlungsoptionen anzubieten. Von unserer innovativen Pipeline könnten Millionen weitere Menschen profitieren. Unsere Mitarbeitenden eint eine Bestimmung: Wir erforschen die Wunder der Wissenschaft, um das Leben der Menschen zu verbessern. Das inspiriert uns, Fortschritte und einen Mehrwert für unsere Mitarbeitenden sowie die Gesellschaft zu erzielen, indem wir die dringendsten Herausforderungen unserer Zeit im Gesundheitswesen, der Umwelt und Gesellschaft adressieren.

Sanofi ist an den Börsen EURONEXT: SAN und NASDAQ: SNY gelistet.

Kontakt

Laura Guest (DE) | + 49 (0)69 305 17219 | laura.guest@sanofi.com

Juliane Pamme (AT) | + 43 664 801 855 010 | juliane.pamme@sanofi.com

MAT-DE-2600433-1.0-02/2026

MAT-AT-2600132-1.0-02/2026

Zukunftsgerichtete Aussagen zu Sanofi

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen (Forward-Looking Statements), wie im U.S. Private Securities Litigation Reform Act aus dem Jahr 1995 in der geltenden Fassung definiert. Zukunftsgerichtete Aussagen sind keine historischen Tatsachen. Diese Aussagen beinhalten Prognosen und Schätzungen bezüglich des Marketing- und sonstigen Potenzials des Produkts oder bezüglich potenzieller zukünftiger Erträge aus dem Produkt. Zukunftsgerichtete Aussagen sind im Allgemeinen gekennzeichnet durch die Begriffe „erwartet“, „geht davon aus“, „glaubt“, „beabsichtigt“, „schätzt“, „plant“ und ähnliche Ausdrücke. Auch wenn die Geschäftsleitung von Sanofi glaubt, dass die Erwartungen, die sich in solchen zukunftsgerichteten Aussagen widerspiegeln, vernünftig sind, sollten Investoren gewarnt sein, dass zukunftsgerichtete Informationen und Aussagen einer Vielzahl von Risiken und Unsicherheiten unterworfen sind, von denen viele schwierig vorzusagen sind und grundsätzlich außerhalb des Einflussbereichs von Sanofi liegen und dazu führen können, dass die tatsächlich erzielten Ergebnisse und Entwicklungen erheblich von denen abweichen, die in den zukunftsgerichteten Informationen und Aussagen ausdrücklich oder indirekt enthalten sind oder in diesen prognostiziert werden. Zu diesen Risiken und Unsicherheiten zählen unter anderem unerwartete regulatorische Maßnahmen oder Verzögerungen oder Regierungsverordnungen allgemein, welche die Verfügbarkeit oder das kommerzielle Potenzial des Produkts beeinträchtigen könnten, der Umstand, dass das Produkt nicht kommerziell erfolgreich sein könnte, die inhärenten Unsicherheiten der Forschung und Entwicklung, einschließlich zukünftiger klinischer Daten und Analysen bereits vorhandener klinischer Daten zu dem Produkt, einschließlich Postmarketing-Daten, unerwartete die Sicherheit, Qualität oder Herstellung betreffende Probleme, der allgemeine Wettbewerb, Risiken in Verbindung mit geistigem Eigentum und damit zusammenhängenden künftigen Rechtsstreitigkeiten sowie deren letztllichem Ausgang sowie volatile wirtschaftliche Rahmenbedingungen und Marktbedingungen und die Auswirkungen, die globale Krisen auf uns, unsere Kunden, Lieferanten, Anbieter und andere Geschäftspartner sowie deren finanzielle Situation, auf unsere Beschäftigten und auf die Weltwirtschaft insgesamt haben können. Die Risiken und Unsicherheiten umfassen auch die Unsicherheiten, die in den an die SEC und AMF übermittelten Veröffentlichungen von Sanofi angegeben oder erörtert sind, einschließlich jener in den Abschnitten „Risikofaktoren“ und „Warnhinweis zu zukunftsgerichteten Aussagen“ in Formular 20-F des Jahresberichts von Sanofi für das zum 31. Dezember 2024 beendete Geschäftsjahr. Soweit nicht nach geltendem Recht vorgeschrieben, übernimmt Sanofi keine Verpflichtung, zukunftsgerichtete Informationen und Aussagen zu aktualisieren oder zu ergänzen.

Alle in dieser Presseinformation genannten Marken sind Eigentum der Sanofi-Gruppe.