

Dorocubicel + nicht expandierte CD34- Zellen (ZEMCELPRO®)

HTA-Ergebnisse kompakt für Patient:innen

Stand: 2. Oktober 2025

Inhaltsverzeichnis

Was ist ZEMCELPRO® und welche Erkrankungen sollen damit behandelt werden?	3
Ist ZEMCELPRO® zugelassen und für welche <i>Indikation</i> ?	4
Wie wird Blutkrebs in Österreich derzeit behandelt?	4
Wie funktioniert die Behandlung mit ZEMCELPRO®?	4
Was zeigen die bisherigen Studienergebnisse?	6
Welche Nebenwirkungen können auftreten?	6
Wie viele Menschen sind in Österreich betroffen?	7
Was sind besondere Herausforderungen?	7
Was kostet die Behandlung?	7
Wie geht es weiter?	8
Abkürzungsverzeichnis	9
Glossar	9

Im Auftrag des Bundesministeriums für Arbeit, Soziales, Gesundheit, Pflege und Konsumentenschutz (BMASGPK) hat das Austrian Institute for *Health Technology Assessment*¹ (AIHTA) im September 2025 das Arzneimittel **ZEMCELPRO®**, mit den Wirkstoffen Dorocubicel + nicht expandierte CD34- Zellen (kurz Zemcelpro), umfassend bewertet. Dieses Dokument fasst die Ergebnisse des HTA-Berichts kompakt für Patient:innen zusammen. Den vollständigen Bericht finden Sie unter <https://eprints.aihta.at/1596>.

Was ist ZEMCELPRO® und welche Erkrankungen sollen damit behandelt werden?

ZEMCELPRO® ist ein individuell angepasstes Stammzellarzneimittel. Es besteht aus zwei Komponenten, die beide aus gespendetem Nabelschnurblut stammen:

- Dorocubicel oder auch expandierte CD34+ Zellen: Stammzellen, die im Labor gezüchtet und vermehrt worden sind.
- Nicht expandierte CD34- Zellen: Stammzellen, die unverändert aus dem Nabelschnurblut gewonnen werden.

ZEMCELPRO® wird zur Behandlung von Erwachsenen mit Blutkrebs eingesetzt, die eine *allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation* (allo-HSZT) benötigen und für die keine andere Art geeigneter Spenderzellen verfügbar ist. Durch ZEMCELPRO® wird das Wachstum gesunder Blut- und Immunzellen gefördert und verbleibende Krebszellen entfernt.

Abbildung 1 zeigt die verschiedenen Arten von Blutkrebs, bei denen ZEMCELPRO® angewendet werden kann.

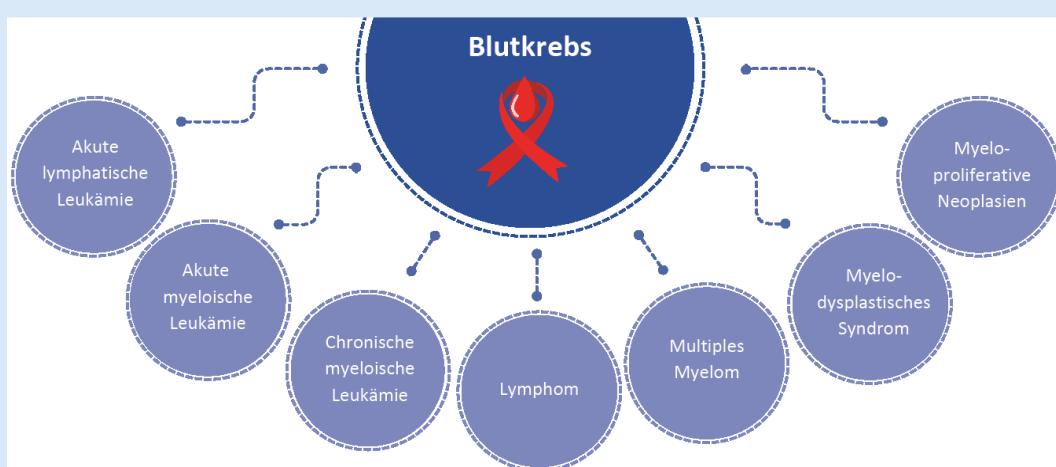


Abbildung 1: Schematische Darstellung der Arten von Blutkrebs (eigene Darstellung, erstellt mit CANVA)

¹ Kursivgeschriebene Begriffe werden im Glossar erklärt.

Ist ZEMCELPRO® zugelassen und für welche *Indikation*?

ZEMCELPRO® wurde am 25. August 2025 von der Europäischen Kommission für Erwachsene mit Blutkrebs *bedingt zugelassen*, die eine allo-HSZT benötigen und für die keine andere Art geeigneter Spenderzellen verfügbar ist. Die *bedingte Zulassung* soll Patient:innen einen früheren Zugang zur Therapie ermöglichen, während weitere Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit erhoben werden.

Wie wird Blutkrebs in Österreich derzeit behandelt?

Die einzige Behandlung, die auf eine Heilung abzielt, ist eine allo-HSZT. Dabei erhalten Patient:innen Stammzellen von einer anderen Person (Spender:in). Diese Stammzellen können aus dem Blut, dem Knochenmark oder aus Nabelschnurblut gewonnen werden.

Zunächst wird nach einer passenden Spenderin oder einem passenden Spender gesucht. Dabei werden sowohl verwandte (zum Beispiel Geschwister) als auch nicht verwandte Spender:innen berücksichtigt. Diese Suche bleibt bei wenigen Patient:innen ohne Erfolg, das heißt, es kann keine ausreichend gut passende Spenderperson gefunden werden.

In solchen Fällen besteht grundsätzlich die Möglichkeit, Nabelschnurblut zu verwenden. Dieses stammt aus Spenden nach einer Geburt. In der täglichen klinischen Praxis in Österreich wird Nabelschnurblut jedoch nur selten eingesetzt, da die darin enthaltene Menge an Stammzellen oft nicht ausreicht, insbesondere bei erwachsenen Patient:innen. Eine zu geringe Stammzellzahl kann dazu führen, dass das Transplantat schlechter anwächst oder die Erholung des Immunsystems länger dauert.

Wie funktioniert die Behandlung mit ZEMCELPRO®?

Für jede:n Patient:in wählen die behandelnden Ärzt:innen ein geeignetes Nabelschnurblut aus einer Nabelschnurblutbank (= Ort, wo das gespendete Nabelschnurblut gelagert wird) aus, das zur weiteren Verarbeitung nach Kanada geschickt wird. Dort wird das Medikament ZEMCELPRO® hergestellt und anschließend nach Europa transportiert. Der gesamte Ablauf dauert etwa 45 Tage und ist zeitlich vergleichbar mit der Suche nach passenden Fremdspender:innen.

Die Behandlung erfolgt *stationär* im Krankenhaus und besteht aus mehreren Schritten:

Vorbereitung	Verabreichung von ZEMCELPRO®	Begleitende Medikamente
Zuerst bekommen Patient:innen eine	Anschließend wird ZEMCELPRO® als einmalige <i>Infusion</i> in eine	Vor und nach der ZEMCELPRO®-Infusion

<p><i>Chemotherapie, um den Körper auf die Behandlung mit ZEMCELPRO® vorzubereiten.</i></p>	<p>Vene verabreicht. Diese Infusion besteht aus einem bis vier Infusionsbeuteln mit Dorocubicel und weiteren vier Infusionsbeuteln, die nicht expandierte CD34- Zellen enthalten.</p>	<p>erhalten Patient:innen zusätzliche Medikamente, um Nebenwirkungen oder Komplikationen zu verringern oder zu verhindern.</p>
---	---	--

Abbildung 2 zeigt wie die Behandlung und die Herstellung des Medikaments ablaufen.

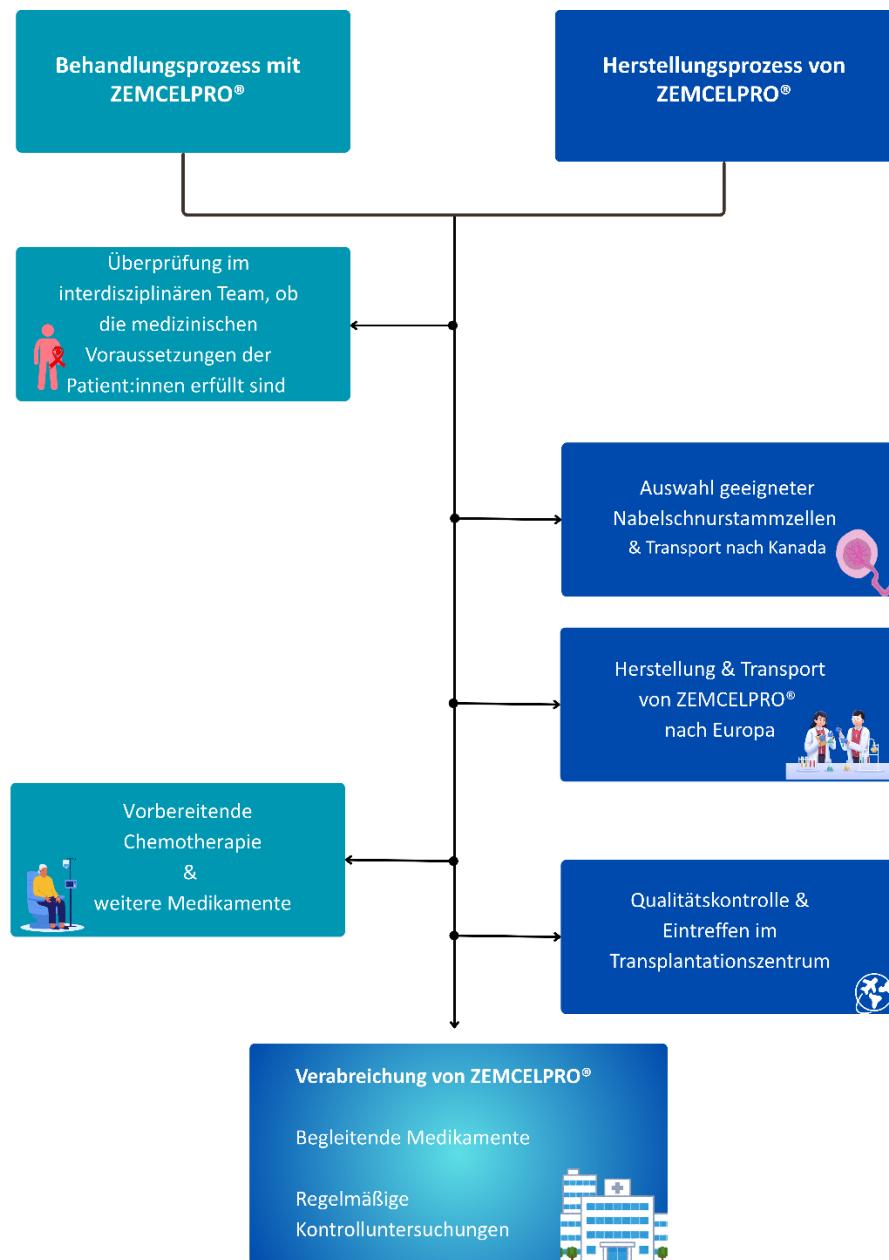


Abbildung 2: Schematische Darstellung des Behandlungs- und Herstellungsprozesses von ZEMCELPRO® (eigene Darstellung, erstellt mit CANVA)

Was zeigen die bisherigen Studienergebnisse?

Die Wirksamkeit und Sicherheit von ZEMCELPRO® wurden in mehreren klinischen Studien² untersucht. Zwei Jahre nach der Behandlung lebte noch etwa die Hälfte der Patient:innen (51 %, *Gesamtüberleben*), und bei zirka 45 % zeigte die Erkrankung in diesem Zeitraum keinen weiteren Fortschritt (*progressionsfreies Überleben*). Etwa 21 % der Patient:innen verstarben aus Gründen, die nicht mit einem Rückfall der Erkrankung (nicht *rezidiv*bedingte Mortalität) zusammenhingen. Bis die transplantierten Stammzellen im Körper anwachsen und wieder ausreichend *Neutrophile* bilden (*Neutrophilen-Engraftment*), vergingen im Mittel 20 Tage. Zu Auswirkungen auf die Lebensqualität sowie zu langfristigen Ergebnissen zur Wirksamkeit und Sicherheit liegen derzeit keine Daten vor.

In bisherigen klinischen Studien wurde ZEMCELPRO® nicht direkt mit anderen Behandlungen verglichen. Ein aktueller *indirekter Therapievergleich*³ mit nicht expandiertem Nabelschnurblut deutet jedoch darauf hin, dass ZEMCELPRO® Vorteile beim *Gesamtüberleben* und *schnellerem Neutrophilen-Engraftment* haben könnte. Gleichzeitig traten unter ZEMCELPRO® jedoch häufiger Rückfälle sowie *akute Abstoßungsreaktionen* auf.

Basierend auf dem derzeit verfügbaren, jedoch begrenzten Wissensstand ist eine abschließende Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von ZEMCELPRO® im Vergleich zur aktuellen Standardbehandlung in Österreich nicht möglich.

Welche Nebenwirkungen können auftreten?

Zu den häufigsten schwerwiegenden Nebenwirkungen zählen ein Rückgang verschiedener Blutzellen (wie *Lymphopenie*, *Anämie*, *Neutropenie*, *Thrombozytopenie*) sowie die *akute Abstoßungsreaktion*. In seltenen Fällen können diese aufgrund ihres Schweregrads auch lebensbedrohlich sein.

² ECT-001-CB.001, ECT-001-CB.002, ECT-001-CB.003, ECT-001-CB.004 & ECT-001-CB.007.

Weitere Informationen finden Sie unter:

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

³ Cohen et al. (2025): Comparison of Outcomes after UM171-Expanded Cord Blood and Six Conventional Donor Source Transplants: A Matched Analysis from the EBMT Registry. *Transplantation and Cellular Therapy*. 2025;14:14. DOI: <https://dx.doi.org/10.1016/j.jtct.2025.08.006>.

Wie viele Menschen sind in Österreich betroffen?

Blutkrebs macht etwa 6,5 % aller Krebserkrankungen aus. In Österreich lebten im Jahr 2023 etwa 19.676 Personen mit Lymphom, 10.826 mit Leukämie und 3.202 mit multiplen Myelom. Für die meisten dieser Erkrankungen stellt die allo-HSZT die einzige Behandlungsmöglichkeit dar, die eine Heilung bewirken kann.

Für fast alle Patient:innen in Österreich, die eine allo-HSZT benötigen, können geeignete Spender:innen gefunden werden. Ärzt:innen schätzen deshalb, dass aktuell nur sehr wenige Patient:innen in Österreich für ZEMCELPRO® infrage kommen würden.

Es wird aber erwartet, dass durch Veränderungen wie zum Beispiel die zunehmende Migrationsbewegung die genetische Vielfalt in der Bevölkerung zunimmt, was das Finden passender Spender:innen in Zukunft erschweren könnte. Daher könnte die Zahl der Patient:innen, für die ZEMCELPRO® eine geeignete Therapieoption ist, langfristig steigen.

Was sind besondere Herausforderungen?

Die Behandlung mit ZEMCELPRO® ist ein aufwendiger medizinischer, technischer und organisatorischer Prozess (siehe Abbildung 2). Sie kann nur in spezialisierten Transplantationszentren durchgeführt werden, die über qualifiziertes Personal und die notwendige Ausstattung verfügen. In Österreich gibt es fünf solcher Zentren – in Graz, Innsbruck, Linz und zwei Zentren in Wien.

Die Organisation ist besonders anspruchsvoll, da ZEMCELPRO® in Kanada hergestellt wird und anschließend nach Österreich ins Transplantationszentrum gebracht wird. Auch die medizinische Abklärung der Eignung der Patient:innen, die sorgfältige Planung der Behandlung und die Dokumentation aller Schritte erfordern umfangreiche Ressourcen und Erfahrung.

Was kostet die Behandlung?

Der Preis für ZEMCELPRO® ist in der Europäischen Union noch nicht festgelegt. Es wird jedoch erwartet, dass die Behandlung höhere Kosten (im sechsstelligen Bereich) verursacht als die derzeitige Standardbehandlung. Wie viel ZEMCELPRO® in Österreich tatsächlich kosten wird, entscheidet sich erst nach den Preisverhandlungen der pharmazeutischen Unternehmen mit den zuständigen Behörden und sobald es am österreichischen Markt erhältlich ist.

Für Patient:innen in Österreich entstehen jedoch keine direkten Kosten, da die Behandlung vollständig vom österreichischen Gesundheitssystem übernommen wird.

Wie geht es weiter?

Das nationale Bewertungsboard⁴ erstellt in Abstimmung mit klinischen Expert:innen eine Empfehlung zur Anwendung von ZEMCELPRO®.

⁴ Weiterführende Informationen finden Sie unter:

<https://www.sozialministerium.gv.at/Themen/Gesundheit/Gesundheitssystem/Bewertungsboard.html>

Abkürzungsverzeichnis

AIHTA	Österreichisches Institut für Health Technology Assessment (Austrian Institute for Health Technology Assessment)
Allo-HSZT	Allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation
BMASGPK	Bundesministerium für Arbeit, Soziales, Gesundheit, Pflege und Konsumentenschutz
HTA	Bewertung von Gesundheitstechnologien (Health Technology Assessment)

Glossar

Akute Abstoßungsreaktion	Akute Reaktion des Spenderimmunsystems gegen Gewebe der Empfängerin/des Empfängers. Es tritt in der Regel zwischen 14 Tagen und 6 Monaten nach der Transplantation auf und kann Symptome wie Hautveränderungen, Übelkeit, Erbrechen und Leberprobleme auslösen.
Allogene hämatopoetische Stammzell-transplantation	Verfahren, bei dem einer Patientin/einem Patienten gespendete Stammzellen verabreicht werden. Dadurch wird das blutbildende System und das Immunsystem nach einer Therapie (z.B. Chemotherapie oder Bestrahlung) wieder aufgebaut. Nach einer Vorbereitungsphase werden die gespendeten Stammzellen mithilfe einer Infusion verabreicht.
Anämie	Niedrige Anzahl roter Blutkörperchen
Bedingte Zulassung	Bedingte Zulassungen sind an Auflagen geknüpft, z.B. dass der Hersteller des Arzneimittels weitere Studiendaten vorlegen muss, und werden in der Regel erteilt, wenn die Vorteile einer Zulassung die möglichen Nachteile überwiegen. Die Gültigkeit einer bedingten Zulassung ist auf ein Jahr befristet. Werden die Auflagen erfüllt, kann die bedingte Zulassung auch in eine volle Zulassung übergehen.
Bewertungsboard	Das Bewertungsboard in Österreich ist ein Gremium, das basierend auf wissenschaftlicher Evidenz Anwendungsempfehlungen für ausgewählte hochpreisige und spezialisierte Arzneimittel abgibt und so zu mehr Transparenz und Fairness in der Medikamentenversorgung im österreichischen Gesundheitssystem beiträgt.

CD34	CD34 ist ein Oberflächenmerkmal, das von sehr frühen (unreifen) blutbildenden Stammzellen gebildet wird.
Chemotherapie	Behandlung mit Medikamenten, die das Wachstum von Krebszellen hemmen sollen.
Engraftment	Transplantierte Zellen beginnen zu wachsen und gesunde Blutzellen zu produzieren.
Gesamtüberleben	Die Zeitspanne ab dem Therapiebeginn bis zum Tod der Patientin/des Patienten.
Health Technology Assessment	Ein systematischer, evidenzbasierter Prozess, der sowohl klinische als auch nicht-klinische Aspekte von Gesundheitstechnologien (umfasst ein Medikament, ein Medizinprodukt oder medizinische und chirurgische Verfahren, sowie Maßnahmen zur Prävention von Krankheiten oder in der Gesundheitsversorgung angewandte Diagnose- und Behandlungsverfahren) bewertet.
Indikation	Grund für die Durchführung einer bestimmten ärztlichen Maßnahme.
Indirekter Therapievergleich	Eine Methode, mit der zwei Behandlungen verglichen werden, die in klinischen Studien nicht direkt miteinander verglichen wurden. Das Ziel ist, ein vergleichbares Schätzergebnis zu erhalten.
Infusion	Verabreichung einer Flüssigkeit (mit oder ohne Medikament) über einen Zugang in ein Blutgefäß.
Lymphopenie	Niedrige Anzahl von Lymphozyten, einer Art weißer Blutkörperchen
Neutropenie	Niedrige Anzahl von Neutrophilen, einer Art weißer Blutkörperchen
Neutrophile	Eine Art weißer Blutkörperchen
Progressionsfreies Überleben	Die Zeitspanne zwischen dem Beginn einer Behandlung oder einer klinischen Studie und dem Beginn des Fortschreitens der Erkrankung oder dem Tod der Patientin/des Patienten.
Rezidiv	Rückfall; Wiederauftreten einer Krankheit nach zunächst erfolgreicher Behandlung mit Heilung oder Verbesserung.
Stationär	Vor oder nach der Behandlung befindet sich die Patientin/der Patient mindestens eine Nacht im Krankenhaus.
Thrombozytopenie	Niedrige Anzahl von Blutplättchen