

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2018

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Zytostatika			
Abemaciclib (Verzenio®)	hemmt Cyclin-abhängige Kinasen (cyclin-dependent kinase, CDK) 4 und 6 und die Progression von G1- zu S-Phase und damit das Tumorwachstum	Hormonrezeptor-positives, (HER2)-negatives lokal fortgeschrittenes oder metastasiertes Mammakarzinom (Kombi mit Fulvestrant)	noch nicht festgelegt
Binimetinib (Mektovi®)	Tyrosinkinase-Hemmer, hemmt RAS/RAF/MEK/ERK-Signalweg bei BRAF-V600 Mutation	nicht resezierbares oder metastasierendes Melanom mit einer BRAF-V600-Mutation	noch nicht festgelegt
Durvalumab (Imfinzi®)	Checkpoint-Inhibitor, Antikörper gegen Programmed-Death-Liganden 1 (PD-L1), verbessert Immunantwort	lokal fortgeschrittenes, inoperables nicht kleinzelliges Lungenkarzinom im Stadium III mit Expression des PD-L1 bei ≥ 1 % der Tumorzellen	noch nicht festgelegt
Encorafenib (Braftovi®)	Tyrosinkinase-Hemmer, hemmt RAS/RAF/MEK/ERK-Signalweg bei BRAF-V600 Mutation	nicht resezierbares oder metastasierendes Melanom mit einer BRAF-V600-Mutation	noch nicht festgelegt
Gemtuzumab Ozogamicin (Mylotarg®) 	Gemtuzumab (humanisierter AK gegen CD33) Ozogamicin (mit einem Linker gebundenes Zytostatikum, bildet Di-radikal, verursacht DNA-Strangbrüche und Apoptose)	CD33 positive akute myeloische Leukämie	noch nicht festgelegt
Padeliporfin (Tookad®)	Photosensitizer der nach iv. Gabe intravaskulär verbleibt und bei Bestrahlung mit Laserlicht Blutgefäße und Tumore nekrotisiert	unbehandeltes einseitiges Niedrigrisiko-Adenokarzinom der Prostata bei einer Lebenserwartung von mehr als 10 Jahren	kein Eintrag
Sonidegib (Odomzo®)	hemmt überaktiven Hedgehog-(Hh)-Signalweg durch Bindung an das Signalprotein Smoothened	lokal fortgeschrittenes Basalzellkarzinom (BCC), wenn Operation oder Bestrahlung nicht möglich sind	nicht belegt
Streptozocin (Zanosar®)	spontaner Zerfall zu Methyl-carbonium-Ionen, alkylieren und quervernetzen DNA	inoperable, fortgeschrittene oder metastasierte, progressive und/oder symptomatische, gut differenzierte, neuroendokrine Pankreastumore	kein Eintrag
Tisagenlecleucel (Kymriah®) 	genmodifizierte autologe T-Zellen, die mittels eingeschleusten Antigenrezeptoren CD19- positive Leukämie-Zellen zerstören (Immunstimulanz)	refraktäre oder rezidivierende akute lymphatische B-Zell-Leukämie (ALL) refraktäres diffus großzelliges B-Zell-Lymphom (DLBCL)	noch nicht festgelegt
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Burosumab (Crysvita®) 	Antikörper gegen den Fibroblasten-Wachstumsfaktor FGF23	Kinder (>1 Jahr) und Jugendliche mit X-chromosomaler Hypophosphatämie	nicht quantifizierbar
Caplacizumab (Cabliivi®) 	selektiver bivalenter Anti-von-Willebrand-Faktor, Nanoantikörper	erworbene Thrombotisch-thrombozytopenische Purpura	noch nicht festgelegt
Genmodifizierte T-Zellen inklusive eines Suizid-Gens (Zalmoxis®) 	T-Zellen des Spenders werden vor der Immun-Rekonstitution genetisch modifiziert, bewirkt bei einer GvHD bei Therapie mit Ganciclovir einen selektiven Zelltod durch Apoptose	Begleittherapie bei Erwachsenen mit einer schwerwiegenden Form von Blutkrebs nach haplo-identischer Stammzelltransplantation	nicht quantifizierbar
Inotersen (Tegsedi®) 	Antisense-Oligonukleotid, das beim Menschen die Transthyretin-(TTR) Produktion hemmt	Polyneuropathie der Stadien 1 und 2 bei erwachsenen Patienten mit hereditärer Transthyretin Amyloidose (hATTR)	noch nicht festgelegt
Metreleptin (Myalepta®) 	Rekombinantes Leptin-Analog zur Ersatztherapie bei Patienten mit Lipidystrophie (LD)	Bestätigte angeborene oder erworbene generalisierte oder partielle LD	noch nicht festgelegt
Patisiran (Onpattro®) 	doppelsträngige small interference (si)-RNA, bewirkt nach Aufnahme der Liposomen den zellulären Abbau der TTR-mRNA und des TTR-Proteins	hereditäre Transthyretin-Amyloidose hATTR bei erwachsenen Patienten mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2	noch nicht festgelegt
Velmanase alfa (Lamzede®) 	rekombinante α -Mannosidase ohne ZNS-Gängigkeit (Enzymersatztherapie)	Behandlung nicht neurologischer Manifestationen der α -Mannosidose (sehr seltene lysosomale Speichererkrankung)	noch nicht festgelegt
Letermovir (Prevymis®) 	hemmt Cytomegalievirus-DNA-Terminase-Komplex, und damit die erforderliche DNA-Fragmentierung	Prophylaxe einer CMV-Reaktivierung sowie deren Behandlung nach allogener hämatopoietischer Stammzelltransplantation	nicht quantifizierbar

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2018

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Tezacaftor/Ivacaftor (Symkevi®) 	Tezacaftor verbessert zelluläre Prozessierung des „cystic fibrosis transmembrane conductance regulator“ (CFTR), Ivacaftor erhöht die CFTR Offenwahrscheinlichkeit	zystische Fibrose mit Phe508del-Mutation und anderen Mutationen im CFTR-Gen	noch nicht festgelegt
Vestronidase alfa (Mepsevii®) 	rekombinante Form der humanen Beta-Glukuronidase, Enzymersatztherapie	nicht-neurologische Krankheitsanzeichen bei Mukopolysaccharidose VII	noch nicht festgelegt
Stoffwechselerkrankungen			
Semaglutid (Ozempic®)	Inkretinagon, Glucagon-like peptide (GLP-1)-Rezeptoragonist	Diabetes mellitus Typ 2, allein oder in Kombination	noch nicht festgelegt
Ertugliflozin/Sitagliptin (Steglujan®)	Ertugliflozin hemmt den renalen Na*-Glukose-Transporter 2 (SGLT2) und Sitagliptin ist ein Inkretin-Mimetikum	unzureichend eingestellter Diabetes mellitus Typ-2	nicht belegt
Urologika			
Desfesoterodin (Tovedeso®)	unspezifischer kompetitiver Muskarin-Rezeptor-Antagonist (M1-M5)	erhöhte Harnfrequenz, imperativer Harndrang und/oder Dranginkontinenz bei Erwachsenen	Festbetragsgruppe Urologische Spasmolytika
Patiomer (Veltassa®)	nicht resorbierbarer Kationenaustauscher der im Gastrointestinaltrakt K ⁺ bindet	Behandlung einer Hyperkaliämie bei Erwachsenen	nicht belegt
Antidota			
Bezlotoxumab (Zinplava®)	Antikörper, der Toxin B von Clostridium-difficile neutralisiert (nicht antibiotisch wirksam)	Clostridium-difficile-Infektionen bei Erwachsenen mit hohem Risiko eines Rezidivs	gering (Hinweis)
Trientin (Cuprior®)	Chelatbildner, fördert renale Cu ²⁺ -Ausscheidung und hemmt Resorption	Morbus Wilson (ab 5 Jahren) bei Unverträglichkeit von D-Penicillamin	kein Eintrag
Antihämorrhagika			
Emicizumab (Hemlibra®)	Antikörper der Faktor IXa und Faktor 10 bindet (wie Faktor VIII)	Blutungsereignisse bei Patienten mit Hämophilie A und Faktor VIII-Hemmkörpern (Hämostatikum)	nicht quantifizierbar
Rurioctocog alfa pegol (Adynovi®)	pegylierter, rekombinanter Faktor VIII	Behandlung einer Hämophilie A (Faktor-VIII-Mangel) ab 12 Jahren	nicht belegt
Andere			
Benralizumab (Fasenra®)	Antikörper gegen die α-Untereinheit des Interleukin-5-Rezeptors	schweres eosinophiles Asthma	gering (wenn alle Therapien ausgeschöpft sind)
Bictegravir (Biktarvy®)	Integrase-Hemmer kombiniert mit Emtricitabin und Tenofovir	Behandlung von Erwachsenen mit HIV-1-Infektion	nicht belegt (IQWiG)
Cariprazin (Reagila®)	atypisches Neuroleptikum, Antagonist an 5-HT _{2B} -, 5-HT _{2A} - und 5-HT ₁ -Rezeptoren, Partialagonist an D ₃ - und D ₂ - und 5-HT _{1A} Rezeptoren,	Behandlung von Erwachsenen mit Schizophrenie	gering (bei überwiegender Negativsymptomatik)
Erenumab (Aimovig®)	humaner monoklonaler Antikörper, gegen den Calcitonin Gene-Related Peptide (CGRP)-Rezeptor	Migräne-Prophylaxe bei Erwachsenen mit mindestens 4 Migränetagen pro Monat.	noch nicht festgelegt
Ocrelizumab (Ocrevus®)	humanisierter monoklonaler Antikörper gegen CD20-exprimierende B-Zellen	frühe primär progredient verlaufende Multiple Sklerose (PPMS) und bei aktivem Schub	gering (bei PPMS)
Tildrakizumab (Ilumetri®)	humanisierter monoklonaler Antikörper gegen Interleukin 23, bindet nicht an IL-12	Patienten mit mittelschwerer bis schwerer Plaque-Psoriasis, die eine systemische Therapie benötigen	noch nicht festgelegt

Autor: Prof. Dr. Georg Kojda, Fachpharmakologe, Fachapotheker für Arzneimittelinformation, Institut für Pharmakologie und Klinische Pharmakologie, Universitätsklinikum Düsseldorf, kojda@uni-duesseldorf.de, Herausgeber „Fortbildungstelegramm Pharmazie“ (siehe www.kojda.de), =Orphan Drug, *nach www.g-ba.de (Bewertungen des IQWiG sind nicht bindend), Stand 07.01.2019. Bitte beachten Sie die Nutzungsbedingungen: <http://www.uni-duesseldorf.de/kojda-pharmalehrbuch/FortbildungstelegrammPharmazie/impressum.html>

Abemaciclib (Verzenios®)
 Benralizumab (Fasenra®)
 Bezlotoxumab (Zinplava®)
 Bictegravir (Biktarvy®)
 Binimetinib (Mektovi®),
 Burosumab (Crysvita®)
 Caplacizumab (Cablivi®)
 Cariprazin (Reagila®)
 Desfesoterodin (Tovedeso®)
 Durvalumab (Imfinzi®)
 Emicizumab (Hemlibra®)
 Encorafenib (Braftovi®)
 Erenumab (Aimovig®)
 Ertugliflozin/Sitagliptin (Steglujan®)
 Gemtuzumab Ozogamicin (Mylotarg®)
 Genmodifizierte T-Zellen inklusive eines Suizid-Gens (Zalmoxis®)
 Inotersen (Tegsedi®)
 Letermovir (Prevymis®)
 Metreleptin (Myalepta®)
 Ocrelizumab (Ocrevus®)
 Padeliporfin (Tookad®)
 Patiromer (Veltassa®)
 Patisiran (Onpattro®)
 Rurioctocog alfa pegol (Adynovi®)
 Semaglutid (Ozempic®)
 Sonidegib (Odomzo®)
 Streptozocin (Zanosar®)
 Tezacaftor/Ivacaftor (Symkevi®)
 Tildrakizumab (Ilumetri®)
 Tisagenlecleucel (Kymriah®)
 Trientin (Cuprior®)
 Velmanase alfa (Lamzede®)
 Vestronidase alfa (Mepsevii®)

Abemaciclib (Verzenios®), Benralizumab (Fasenra®), Bezlotoxumab (Zinplava®), Bictegravir (Biktarvy®), Binimetinib (Mektovi®), Burosumab (Crysvita®), Caplacizumab (Cablivi®), Cariprazin (Reagila®), Desfesoterodin (Tovedeso®), Durvalumab (Imfinzi®), Emicizumab (Hemlibra®), Encorafenib (Braftovi®), Erenumab (Aimovig®), Ertugliflozin/Sitagliptin (Steglujan®), Gemtuzumab Ozogamicin (Mylotarg®), Genmodifizierte T-Zellen inklusive eines Suizid-Gens (Zalmoxis®), Inotersen (Tegsedi®), Letermovir (Prevymis®), Metreleptin (Myalepta®), Ocrelizumab (Ocrevus®), Padeliporfin (Tookad®), Patiromer (Veltassa®), Patisiran (Onpattro®), Rurioctocog alfa pegol (Adynovi®), Semaglutid (Ozempic®), Sonidegib (Odomzo®), Streptozocin (Zanosar®), Tezacaftor/Ivacaftor (Symkevi®), Tildrakizumab (Ilumetri®), Tisagenlecleucel (Kymriah®), Trientin (Cuprior®), Velmanase alfa (Lamzede®), Vestronidase alfa (Mepsevii®)

Zum 1.01.2019:

Damoctocog alfa pegol (Jivi®) 

PEGylierter rekombinanter humaner Blutgerinnungsfaktor VIII ohne B-Domäne (verlängerte Halbwertszeit)

Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Hämophilie A für Vorbehandelte ab 12 Jahren