



## WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2019

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
<b>Zytostatika</b>			
Axicabtagen-Ciloleucel (Yescarta®) 	Genmodifizierte autologe T-Zellen (CAR-T-Zellen), die mittels eingeschleusten Antigenrezeptoren CD19-positive Leukämie-Zellen zerstören	rezidiertes oder refraktäres diffus großzelliges B-Zell-Lymphom und primär mediastinalem großzelligem B-Zell-Lymphom	nicht quantifizierbar
Apalutamid (Erleada®)	oraler nicht-steroidaler Inhibitor des Androgen-Rezeptors, hemmt Androgen-Bindung, nukleäre Translokation und Transkription	nicht-metastasiertes und kastrationsresistentes Prostatakarzinom mit hohem Metastase-Risiko	Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen
Brigatinib (Alunbrig®)	Tyrosinkinase-Hemmer gegen die anaplastische Lymphomkinase (ALK) sowie mutierte ALK-Formen	ALK-positives, fortgeschrittenes nicht kleinzelliges Lungenkarzinom nach Vorbehandlung mit Crizotinib	nicht belegt
Cemiplimab (Libtayo®)	Antikörper gegen PD-1-Rezeptor auf T-Zellen (Immun-Checkpoint-Inhibitor)	metastasierendes oder fortgeschrittenes kutanes Plattenepithelkarzinom	nicht belegt (IQWiG)
Chlormethin (Ledaga®)	topisch verwendetes lange bekanntes Stickstofflost (Alkylans)	kutanes T-Zell-Lymphom vom Typ Mycosis fungoides (T-Zell-Non-Hodgkin-Lymphom)	kein Eintrag
Dacomitinib (Vizimpro®)	Tyrosinkinase-Hemmer gegen mutierte Formen des epidermalen Wachstumsfaktor-Rezeptor (EGFR)	metastasierendes oder fortgeschrittenes nicht kleinzelliges Lungenkarzinom mit EGFR-aktivierenden Mutationen	nicht belegt
Gilteritinib (Xospata™) 	hemmt die Aktivität der FMS-like Tyrosinkinase 3 (FLT3)	rezidierte oder refraktäre akute myeloischer Leukämie (AML) mit einer FLT3-Mutation bei erwachsenen Patienten	noch nicht festgelegt
Larotrectinib (Vitrakvi®)	selektiver Tropomyosin-Rezeptor-Kinase (TRK)-Inhibitor, zielt auf Proteine der TRK-Familie, die TRKA, TRKB und TRKC beinhalten	Behandlung solider Tumoren mit einer neurotrophen Tyrosin-Rezeptor-Kinase (NTRK)-Genfusion	noch nicht festgelegt
Lorlatinib (Lorviqua®)	Tyrosinkinase-Hemmer gegen die anaplastische Lymphomkinase (ALK)	ALK-positives, fortgeschrittenes nicht kleinzelliges Lungenkarzinom nach Vorbehandlung	nicht belegt
Mesenchymale Stromazellen (Obnitix®)	undifferenzierte Zellen mesodermalen Ursprungs mit komplexen immunmodulierenden Eigenschaften auf Spender-T-zellen nach Knochenmarkstransplantation	Behandlung einer akuten steroidrefraktären, Graft-versus-Host-Disease (GvHD)-Reaktion (Grad II – IV) zusätzlich zu konventioneller Immunsuppression	kein Eintrag
Neratinib (Nerlynx®)	Hemmer von Wachstumsfaktor Tyrosinkinasen, u.a. HER2 und HER4 sowie Heterodimere mit HER3	adjuvante Behandlung bei Hormonrezeptor-positivem, HER2-überexprimiertem Brustkrebs in einem frühen Stadium	noch nicht festgelegt
Rucaparib (Rubraca®)	Poly(ADP-Ribose)-Polymerase (PARP)-Enzym-Inhibitor (PARP-1, PARP-2 und PARP-3), hemmt DNA-Reparatur	Behandlung von platin sensitivem, rezidiertem, high-grade epithelalem Ovarial-, Eileiter- oder primärem Peritonealkarzinom	nicht belegt
Ropeginterferon (Besremi®) 	PEGyliertes rekombinantes Interferon (IFN) alfa-2b, stimuliert INFa-Rezeptor und aktiviert vor allem Januskinase 1 (JAK1)/Tyrosinkinase 2 (TYK2), hemmt Proliferation von hämatopoietischen Zellen	Behandlung von erwachsenen Patienten mit einer Polycythaemia vera ohne symptomatische Splenomegalie	nicht belegt
<b>Antihämorrhagika</b>			
Damoctocog alfa pegol (Jivi®)	rekombinanter humaner Blutgerinnungsfaktor VIII (pegyliert und ohne die B-Domäne)	Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Hämophilie A bei Vorbehandelten ab 12 Jahren	nicht belegt
Turoctocog alfa pegol (Esperoct®)	rekombinanter humaner Blutgerinnungsfaktor VIII (pegyliert)	Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Hämophilie A bei Patienten ab 12 Jahren	nicht belegt (IQWiG)
Andexanet alfa (Ondexxya®)	rekombinanter Faktor Xa ohne katalytische Aktivität, bindet direkte und indirekte Faktor Xa-Hemmer	Antidot zur Aufhebung der Wirkung von Rivaroxaban und Apixaban	nicht belegt (IQWiG)

## WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2019

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
<b>Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)</b>			
Darvadstrocel (Alofisel®) 	expandierte, humane, allogene, mesenchymale, adulte Stammzellen mit immunmodulatorischen und antiinflammatorische Wirkungen	Reservetherapie bei komplexen perianalen Fisteln bei Erwachsenen	nicht quantifizierbar
Lanadelumab (Takhzyro®) 	humaner monoklonaler Antikörper gegen Plasma-Kallikrein	Prophylaxe von Angioödem-Attacken bei hereditärem Angioödem (HAE)	beträchtlich
Pegvaliase (Palynziq®) 	PEGylierte, rekombinante Phenylalanin-Ammoniak-Lyase	Patienten ab 16 Jahren mit unzureichend behandelter Phenylketonurie (PKU)	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Volanesorsen (Waylivra®) 	Antisense-Oligonukleotid, hemmt die Bildung von Apolipoprotein C-III	genetisch bestätigtes Familiäres Chylomikronämie Syndrom (FCS)	noch nicht festgelegt
Vonicog alfa (Veyvondi®) 	rekombinanter humaner Von-Willebrand-Faktor (rVWF)	Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Erwachsenen mit Von-Willebrand-Syndrom	kein Eintrag
Voretigen Neparvec (Luxturna®) 	Adeno-assoziiertes viraler Vektor vom Serotyp 2 (AAV2) mit der cDNA des humanen retinalen Pigment-epithel-spezifischen 65 kDa-Protein (hRPE65)	Sehverlust aufgrund einer erblichen Netzhautdystrophie bei biallelischen RPE65-Mutationen	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen
<b>Antinfektiva</b>			
Doravirine/Lamivudin/Tenofovir Disoproxil (Delstrigo®)	Tripel-Therapie aus HIV-1-Reverse-Transkriptase-Inhibitoren	Behandlung von Erwachsenen mit HIV-1-Infektion ohne Resistenz gegen einen der Wirkstoffe	nicht belegt
Doravirin (Pifeltro®)	nicht nukleosidischer HIV-1-Reverse-Transkriptase-Inhibitor (NNRTI)	Behandlung von Erwachsenen mit HIV-1-Infektion ohne NNRTI-Resistenz	nicht belegt
Temocillin (Temopen®)	bakterizides $\beta$ -Lactamase-stabiles $\beta$ -Lactam-Antibiotikum, hemmt Zellwandsynthese von aeroben gram-negativen Keimen (nicht P. aeruginosa und Acinebacter)	komplizierte Harnwegsinfektionen, Bakteriämie, Infektionen der unteren Atemwege und Wundinfektionen bei Verdacht oder Nachweis von gram-negativen Keimen	kein Eintrag
<b>Andere</b>			
Fremanezumab (Ajovy®)	humaner monoklonaler Antikörper, gegen das Calcitonin Gene-Related Peptide (CGRP)	Migräne-Prophylaxe bei Erwachsenen mit mindestens 4 Migränetagen pro Monat.	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen (nur bei Versagen aller anderen Therapien)
Galcanezumab (Emgality®)	humaner monoklonaler Antikörper, gegen das Calcitonin Gene-Related Peptide (CGRP)	Migräne-Prophylaxe bei Erwachsenen mit mindestens 4 Migränetagen pro Monat.	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen (nur bei Versagen aller anderen Therapien)
Ravulizumab (Ultomiris®)	monoklonaler Antikörper gegen das Komplementsystem-Protein C5	Behandlung von Erwachsenen mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH)	nicht belegt (IQWiG)
Risankizumab (Skyrizi®)	humanisierter monoklonaler Antikörper gegen Interleukin-23	mittelschwere bis schwere Plaque-Psoriasis	Beleg für einen beträchtlichen Zusatznutzen (gegenüber Ustekinumab)

**Autor:** Prof. Dr. Georg Kojda, Fachpharmakologe, Fachapotheker für Arzneimittelinformation, Institut für Pharmakologie und Klinische Pharmakologie, Universitätsklinikum Düsseldorf, [kojda@uni-duesseldorf.de](mailto:kojda@uni-duesseldorf.de), Herausgeber „Fortbildungstelegramm Pharmazie“ (siehe [www.kojda.de](http://www.kojda.de)), =Orphan Drug, \*nach [www.q-ba.de](http://www.q-ba.de) (Bewertungen des IQWiG sind nicht bindend), Stand 07.01.2020. Bitte beachten Sie die Nutzungsbedingungen: <http://www.uni-duesseldorf.de/kojda-pharmalehrbuch/FortbildungstelegrammPharmazie/impressum.html>