

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2021

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Zytostatika			
Brexucabtagen autoleucel (Tecartus®)	Zelltherapeutikum aus patienteneigenen T-Zellen, die einen chimären Antigenrezeptor Anti CD19 exprimieren	rezidiviertes oder refraktäres Mantelzell-Lymphom (MCL)	noch kein Eintrag
Dostarlimab (Jemperli®)	humaner monoklonaler Antikörper, der an den Programmed Death (PD)-1-Rezeptor bindet, Checkpoint-Inhibitor	rezidivierendes oder fortgeschrittenes Endometriumkarzinom bei Fortschreiten nach platinbasierter Chemotherapie	nicht belegt (IQWiG)
Fedratinib (Inrebic®)	Hemmer der Januskinase Typ 2 (JAK2) und der FMS-ähnlichen Tyrosinkinase 3 (FLT3)	Splenomegalie oder Symptome bei erwachsenen Patienten mit primärer Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose oder Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose	noch kein Eintrag
Isatuximab (Sarclisa®)	monoklonaler Antikörper gegen CD38, das auf der Oberfläche von Myelomzellen stark exprimiert ist	rezidiviertes und refraktäres Multiples Myelom, kombiniert mit Pomalidomid und Dexamethason	Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen
Pemigatinib (Pemazyre®) 	Tyrosinkinase-Hemmer gegen Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor (FGF-R)	lokal fortgeschrittenes oder metastasiertes Cholangio-karzinom mit FGF-R Beteiligung	noch kein Eintrag
Pralsetinib (Gavreto®)	Inhibitor von Rearranged-during-Transfection (RET)-Fusions-Proteinkinasen (KIF5B-RET und CCDC6-RET)	RET-Fusion-positives, fortgeschrittenes nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)	noch nicht festgelegt
Sacituzumab Govitecan (Trodelvy®)	Antikörper-Wirkstoff-Konjugat, Sacituzumab erkennt Trop-2 (EGP-1) auf Tumorzellen, nach Endozytose wird Govitecan, ein hochaktiver Irinotecan-Metabolit, freigesetzt, hemmt Topoisomerase I, Zelltod durch Apoptose	nicht resezierbares oder metastasiertes triple-negatives Mammakarzinom (Reserve)	noch nicht festgelegt
Selpercatinib (Retsevmo®)	Hemmer der RET (rearranged during transfection) Rezeptor-Tyrosin-Kinase	fortgeschrittenes RET-Fusions-positives nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom oder Schilddrüsenkarzinom	nicht belegt
Tafasitamab (Minjuvi®) 	mono-klonaler Antikörper gegen das CD19-Antigen auf der Oberfläche von Prä-B- und reifen B-Lymphozyten	rezidiviertes oder refraktäres diffuses großzelliges B-Zell-Lymphom	noch kein Eintrag
Tagraxofusp (Elzonris®) 	rekombinantes Fusionsprotein aus humanem Interleukin-3 (IL-3) und einem trunkierten Diphtherietoxin gegen CD-123 exprimierende Zellen, hemmt die Proteinbiosynthese	Erstlinien-Behandlung bei blastischer plasmazytoider dendritischer Zellneoplasie	noch kein Eintrag
Tucatinib (Tukysa®)	Inhibitor der Tyrosinkinase HER2, hemmt Phosphorylierung von HER2 und HER3 und das Wachstum der durch HER2 beeinflussten Tumore	HER2-positiver lokal fortgeschrittener oder metastasierter Brustkrebs in Kombination mit Trastuzumab und Capecitabin	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen
Zanubrutinib (Brukinsa®)	BTK (Bruton-Tyrosinkinase)-Inhibitor, hemmt Signalwege, klonale Vermehrung und Überproduktion von monoklonalem IgM in reifen plasmazellulär differenzierten funktionsgestörten B-Zellen	erwachsene Patienten mit Morbus Waldenström (malignes Lymphom)	noch nicht festgelegt
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Berotrastat (Orladeyo®)	oraler der Inhibitor Serinprotease Plasmakallikrein, welcher den Funktionsverlust des endogenen Inhibitor C1-INH kompensiert	Prophylaxe von Angioödem-Attacken bei hereditärem Angioödem (HAE)	nicht belegt
CD34 ⁺ -hämatopoetische Stammzellen (Libmeldy®), 	patienteneigene CD34 ⁺ -Zellen, bei denen mit einem lentiviralen Vektor eine korrekte Kopie der Arylsulfatase A cDNA transfiziert wurde	metachromatische Leukodystrophie, bei homozygoten Mutationen des Arylsulfatase A Gens (ARSA) bei Kindern	noch kein Eintrag
Lumasiran (Oxlumo®) 	synthetisches doppelsträngiges small interfering RNA (siRNA) (Oligonukleotid), hemmt durch RNA-Interferenz die Translation des Enzyms Hydroxysäure-Oxidase 1 (auch Glykolat-Oxidase)	primäre Hyperoxalurie Typ 1 (seltene erbliche Erkrankung)	noch kein Eintrag
Odevixibat (Bylvay®) 	hemmt die Rückresorption von Gallensäuren im Intestinum und unterbricht so den enterohepatischen Kreislauf	erste zugelassene Therapie gegen die progressive familiäre intrahepatische Cholestase	noch kein Eintrag

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2021

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Pemigatinib (Pemazyre®) 	Tyrosinkinase-Hemmer gegen Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor (FGF-R)	lokal fortgeschrittenes oder metastasiertes Cholangio-karzinom mit FGF-R Beteiligung	noch kein Eintrag
Risdiplam (Evrysdi®), 	vermindert Splicing von Exon 7 der mRNA des Survival Motor Neuron 2 (SMN2) und führt bei SMN1-Defizienz zur Bildung von funktionellem SMN-Protein	erste oral verfügbare spezifische Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie	noch kein Eintrag
Satralizumab (Enspryng®), 	humaner monoklonaler Antikörper gegen IL-6-Rezeptor, hemmt u.a. die B-Zell-Aktivierung, die Produktion von Autoantikörpern gegen AQP4 und die Th17-Zell-Aktivierung	anti-Aquaporin-4- (AQP4)-seropositive Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen	noch kein Eintrag
Selumetinib (Koselugo®) 	selektiver Inhibitor der Mitogen-aktivierten Proteinkinase-1 und 2 (MEK1/2), hemmt den RAF-MEK-ERK-Signalweg und das Wachstum der benignen Tumoren	symptomatische, inoperable plexiformen Neurofibrome bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1)	noch kein Eintrag
Vosoritid (Voxzogo®) 	modifiziertes natriuretisches Peptid vom Typ C, hemmt die Signalgebung von Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor 3 und fördert damit die Proliferation und Differenzierung von Chondrozyten.	Achondroplasie bei Patienten ab 2 Jahren	noch kein Eintrag
Antiinfektiva			
Baloxavir marboxil (Xofluza®)	hemmt eine Influenzavirus-spezifische Endonuklease und damit die Transkription von Influenza-RNA sowie die intrazelluläre Vermehrung der Viren	Behandlung unkomplizierter Influenza Postexpositions-Prophylaxe einer Influenza ohne Risiko für Komplikationen	nicht belegt Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen
Cabotegravir (Vocabria®)	Hemmer der HIV-Integrase, nur in Kombination mit dem nicht nukleosidischen Reverse-Transkriptase-Hemmer Rilpivirin	Infektion mit dem humanem Immundefizienz-Virus Typ 1 (HIV-1)	nicht belegt
Cefiderocol (Fetroja®)	Cephalosporin mit hoher β -Lactamase Stabilität, gelangt über Eisentransporter in die Zelle, hemmt Zellwandsynthese	Infektionen durch aerobe gramnegative Erreger	als Reserveantibiotikum freigestellt
Fostemsavir (Rukobia®)	Prodrug, aktiver Metabolit Temsavir bindet an gp120-Untereinheit des HIV-1-Hüllproteins gp160 und hemmt Viruseintritt in T-Zellen	multiresistente Infektion mit dem humanem Immundefizienz-Virus Typ 1 (HIV-1)	nicht belegt
Relebactam (Recarbrio®)	β -Lactamase-Hemmer (Kombination mit Imipenem und Cilostazol) hemmt Zellwandsynthese	nosokomiale Pneumonien, auch Beatmungspneumonie und damit assoziierte Bakteriämie	Freistellung als Reserveantibiotikum ausgesetzt
Remdesivir (Veklury®)	Prodrug, Remdesivir-Triphosphat bindet an die SARS-CoV-2-RNA-abhängige RNA-Polymerase und hemmt RNA-Replikation	COVID-19 Erkrankung mit Pneumonie und Beatmungspflicht	nicht belegt bzw. Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen
Herz-Kreislauf			
Angiotensin II (Giapreza®)	synthetisches humanes AT II, das wie endogenes AT II durch Aktivierung von AT-1-Rezeptoren stark vasokonstriktorisch wirkt	refraktäre Hypotonie bei septischem oder anderem distributivem Schock, nicht für andere Schockformen	nicht belegt (IQWiG)
Icosapent-Ethyl (Vazkepa®)	modifizierte Eicosapentaensäure, wirkt multifaktoriell, u.a. werden Entzündung, oxidativer Stress, Thrombozytenaggregation und Akkumulation von Makrophagen gehemmt, Plaques stabilisiert und verkleinert und die Endothelfunktion verbessert	Reduktion des Risikos kardiovaskulärer Ereignisse bei Patienten mit hohem Risiko, erhöhten Triglyceriden sowie nachgewiesener kardiovaskulärer Erkrankung oder Diabetes	noch kein Eintrag
Inclisiran (Leqvio®)	synthetisches doppelsträngiges small interfering RNA (siRNA) (Oligonukleotid), hemmt durch RNA-Interferenz die Translation des Proteins PCSK9 und erhöht die Dichte des LDL-Rezeptors für ca. 6 Monate	primäre, heterozygot familiärer und nicht-familiärer Hypercholesterolemie oder gemischte Dyslipidämie	nicht belegt
Vericiguat (Verquvo®)	NO-unabhängiger Stimulator der löslichen Guanylatzyklase, erhöht zyklisches Guanosinmonophosphat in Synergie mit der endogenen NO-Bildung	symptomatische, chronische Herzinsuffizienz bei reduzierter Ejektionsfraktion nach kürzlich aufgetretener Dekompensation	noch nicht festgelegt
Autoimmunerkrankungen			
Bimekizumab (Bimzelx®)	humanisierter monoklonaler Antikörper, bindet IL-17A-, IL-17F- und IL-17AF	mittelschwere bis schwere Plaque-Psoriasis	noch kein Eintrag

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2021

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Autoimmunerkrankungen			
Ofatumumab (Kesimpta®)	humaner monoklonaler Antikörper gegen CD20, ein Oberflächenprotein von B-Zellen (alter Arzneistoff mit neuer Indikation)	aktive, schubförmig verlaufende multipler Sklerose	noch kein Eintrag
Ponesimod (Ponvory®)	selektiver Sphingosin-1-Phosphat-Rezeptor-Modulator mit hoher Affinität an den S1P-Rezeptor-Subtyp 1 (von 5 Subtypen)	aktive, schubförmig verlaufende multipler Sklerose	nicht belegt (IQWiG)
Antihämorrhagika / Antianämika			
Avatrombopag (Doptelet®)	Thrombopoetin-Rezeptoragonist, stimuliert wie das körpereigenen Zytokin Thrombopoetin eine erhöhte Bildung von Thrombozyten	primäre chronische Immunthrombozytopenien (ITP)	nicht belegt
Lusutrombopag (Mulpleo®)	Thrombopoetin-Rezeptoragonist, stimuliert wie das körpereigenen Zytokin Thrombopoetin eine erhöhte Bildung von Thrombozyten	schwere Thrombozytopenie bei chronischer Lebererkrankung und Notwendigkeit invasiver Eingriffe	noch nicht festgelegt
Roxadustat (Evrenzo®)	Inhibitor der Hypoxie-induzierbarer-Faktor-Prolylhydroxylase, erhöht Bioverfügbarkeit von Eisen, Hb-Produktion und Erythrozyten-Masse	symptomatische Anämie bei chronischer Nierenerkrankung	noch nicht festgelegt
Andere			
Cenobamat (Ontozry®)	hemmt GABA-A Rezeptoren und Natriumkanäle	add-on bei fokalen Anfällen mit oder ohne sekundäre Generalisierung	nicht belegt
Estetrol (Drovelis®)	bioidentisches β -Estradiol-Derivat, fetales Schwangerschaftshormon, hemmt Ovulation durch Kombination mit Drospirenon	orales Kontrazeptivum	noch kein Eintrag
Eszopiclon (Lunivia®)	GABA-A Rezeptor-Agonist (wie Zopiclon)	Kurzzeitbehandlung von Schlafstörungen	nicht belegt
Imlifidase (Idefix®)	Immunsuppressivum; Cysteinprotease, die spezifisch IgG-Antikörper spaltet	Transplantation einer Niere bei spezifischen Antikörpern vom Typ IgG gegen das Spendergewebe	noch kein Eintrag
Natrium-Zirconium-Cyclosilicat (Lokelma®)	nicht resorbierbares Polymer, welches spezifisch Kalium bindet und mit dem Stuhl ausscheidet, Wirkungseintritt nach ca. 1 h	Hyperkaliämie bei Erwachsenen	nicht belegt
Relugolix (Ryeqo®)	nicht-peptidischer GnRH-Rezeptorantagonist, hemmt Freisetzung von luteinisierendem (LH) und Follikel-stimulierenden Hormon (SH)	mäßige bis starke Symptome von Uterusmyomen bei Frauen im gebärfähigen Alter	noch nicht festgelegt
Tirbanibulin (Klisyri®)	schädigt die Mikrotubuli durch direkte Bindung an Tubulin, bewirkt eine Unterbrechung des Zellzyklus und Apoptose proliferierender Zellen	nicht hyperkeratotische, nicht-hypertrophe aktinische Keratosen im Gesicht oder auf der Kopfhaut	noch nicht festgelegt
Tralokinumab (Adtralza®)	humaner monoklonaler Antikörper, bindet an Interleukin-13 (IL-13) und hemmt dessen Wechselwirkung mit dem Rezeptorkomplex IL-13R α 1/IL-4R α	mittelschwere bis schwere atopische Dermatitis	nicht belegt (IQWiG)

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 EMA-Status), *nach www.g-ba.de (Bewertungen des IQWiG sind nicht bindend), Stand 07.01.2022. Bitte beachten Sie die Nutzungsbedingungen: <http://www.uni-duesseldorf.de/kojda-pharmalehrbuch/FortbildungstelegrammPharmazie/impressum.html>

Hinweise:

Esketamin (Spravato®) wurde bereits im Dezember 2019 als Nasenspray zur Behandlung therapieresistenter Depressionen von der EMA zugelassen! Ausführliche Informationen finden Sie im Beitrag: Krastana R, Turan F. Neue Antidepressiva – Neue Hoffnung. Fortbildungstelegramm Pharmazie 2020;14(3):90-114 <https://www2.hhu.de/kojda-pharmalehrbuch/FortbildungstelegrammPharmazie/Fortbildungsartikel.html#2020>

Remdesivir (Veklury®) wurde aus aktuellem Anlass auch schon in die Liste aus dem letzten Jahr aufgenommen. Ausführliche Informationen finden Sie im Beitrag: Lange F. Infektionswege, Immunantwort und Therapiemöglichkeiten bei COVID-19. Fortbildungstelegramm Pharmazie 2021;15(1):27-61 <https://www2.hhu.de/kojda-pharmalehrbuch/FortbildungstelegrammPharmazie/SerieApothekenpraxis.html#2021>