

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2022

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Zytostatika			
Amivantamab (Rybrevant®)	voll humanisierter Antikörper, bindet spezifisch an EGFR und MET auf der Zelloberfläche und verhindert Bindung und Signalübertragung der Liganden sowie aktiviert Immunzellen	fortgeschrittenes, nichtkleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC) mit aktivierender Exon 20-Insertionsmutation des EGFR	nicht belegt, (deshalb Marktrücknahme durch Hersteller)
Asciminib (Scemblix®) 	allosterische Bindung von Asciminib an der Myristoylstelle von ABL1 imitiert natürliche Hemmung durch Myristat, welches beim Fusionsprotein BCR-ABL1 fehlt und überführt BCR-ABL1 in einen inaktiven Zustand, neuer ATP-unabhängiger Mechanismus	Philadelphia-Chromosom-positive chronische myeloische Leukämie (CML, chronische Phase)	noch nicht festgelegt
Capmatinib (Tabrecta®)	Die Mesenchymale-Epitheliale Transition (MET) durch Aktivierung des MET-Tyrosinkinase-Rezeptors trägt zur Metastasierung bei. METex14-Skipping-Mutationen bewirken eine Art konstitutiver Aktivität. Capmatinib hemmt die ATP-Bindung und damit die Kinaseaktivität.	fortgeschrittenes nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC, non-small cell lung cancer) mit Veränderungen, die zu METex14-Skipping führen	nicht belegt (IQWiG)
Duvelisib (Copiktra®) 	Inhibitor der Phosphatidylinositol-3-Kinasen p110δ (PI3K-δ) und PI3K-γ	rezidierte refraktäre chronische lymphatische Leukämie (CLL), refraktäres follikuläres Lymphom	nicht belegt, bislang keine Markteinführung
Enfortumab-Vedotin (Padcev®) 	Konjugierter Arzneistoff, Antikörper bindet an epitheliales Adhäsionsprotein Nectin4, konjugiertes Monomethyl-auristatin E hemmt Mikrotubuli, Apoptose	lokal fortgeschrittenes oder metastasiertes Urothelkarzinom	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen
Idecabtagen vicleucel (Abecma®) 	Chimäre Antigen-Rezeptor (CAR)-positive T-Zelltherapie, die gegen das B-Zell-Reifungsantigen (BCMA) gerichtet ist	rezidiertes und refraktäres multiples Myelom bei ≥3 vorausgegangenen Therapien	Anhaltspunkt für einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen
Lisocabtagen maraleucel (Breyanzi®) 	Chimäre Antigen-Rezeptor (CAR)-positive T-Zelltherapie, die gegen B-Zell CD19-gerichtet ist, induziert die zytotoxische Abtötung der malignen B-Zellen	rezidiertes oder refraktäres diffus großzelliges B-Zell-Lymphom, primär mediastinales groß-zelliges B-Zell-Lymphom, follikuläres Lymphom Grad 3B	noch nicht festgelegt
Mosunetuzumab (Lunsumio®) 	bispezifischer Anti-CD20/CD3-Antikörper, der über CD20 an B-Zellen und über CD3 an zytotoxische T-Zellen bindet und durch die T-Zell-Aktivierung zur B-Zell-Lyse führt	rezidivierendes oder refraktäres follikuläres Lymphom bei Erwachsenen nach mindestens 2 Vorbehandlungen	Anhaltspunkt für einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen
Ripretinib (Qinlock®) 	hemmt die KIT-Protoonkogen-Rezeptor-Tyrosinkinase und die Platelet Derived Growth Factor Receptor alpha (PDGFRα)-Kinase, einschließlich Wildtyp-, primäre und sekundäre Mutationen	fortgeschrittene gastrointestinale Stromatumoren bei Erwachsenen nach Behandlung mit drei oder mehr Kinase-Hemmern	Anhaltspunkt für einen erheblichen Zusatznutzen
Selinexor (Nexpvio®) 	hemmt spezifisch Exportin 1 (XPO1) und damit den nukleären Export von Proteinen und bewirkt deren Akkumulation im Zellkern, den Stillstand des Zellzyklus und Apoptose	kombiniert mit Bortezomib und Dexamethason oder nur Dexamethason zur Behandlung des Multiplen Myeloms	nicht belegt (IQWiG)
Sotorasib (Lumykras®)	hemmt die überaktive Guanosintriphosphatase Kirsten rat sarcoma viral oncogene homologue (KRAS) p.G12C Mutante durch kovalente Bindung an die inaktive Konformation	fortgeschrittenes nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC, non-small cell lung cancer) mit KRAS G12C-Mutation	nicht belegt
Tebentafusp (Kimmtrak®) 	bispezifisches Fusionsprotein, das aus einem T-Zell-Rezeptor (bindet an gp100-Peptid der uvealen Tumorzellen) besteht, der mit einem Antikörperfragment fusioniert ist, das an CD3 von T-Zellen bindet und diese aktiviert	Behandlung von HLA(humanes Leukozyten-Antigen)-A*02:01-positiven erwachsenen Patienten mit inoperablem oder metastasiertem uvealem Melanom	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen
Tepotinib (Tepmetko®)	Die Mesenchymale-Epitheliale Transition (MET) durch Aktivierung des MET-Tyrosinkinase-Rezeptors trägt zur Metastasierung bei. METex14-Skipping-Mutationen bewirken eine Art konstitutive Aktivität. Tepotinib hemmt die ATP-Bindung und damit die Kinase-Aktivität	fortgeschrittenes nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC, non-small cell lung cancer) mit Veränderungen, die zu METex14-Skipping führen	nicht belegt
Trastuzumab-Deruxtecan (Enhertu®)	humanisierter Anti-HER2-Antikörper konjugiert mit dem Topoisomerase I Hemmer Deruxtecan ist, Trastuzumab vermittelt antikörperabhängige zelluläre Zytotoxizität und Deruxtecan nach Internalisierung DNA-Schäden und Apoptose	inoperabler oder metastasierter HER2-positiver Brustkrebs nach mindestens einer gegen HER2 gerichteten Vorbehandlung	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen (bei <65 Jahre, IQWiG)

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2022

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Avacopan (Tavneos®) O	hemmt selektiv den Komplement-5a-Rezeptor (C5aR1 oder CD88) und verhindert kompetitiv die Bindung des Liganden Anaphylatoxin C5a	schwere aktive Granulomatose mit Polyangiitis (GPA) oder mikroskopische Polyangiitis (MPA) bei Erwachsenen	Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen
Avalglucosidase alfa (Nexviadyme®) S	Mannose-6-Phosphat(M6P)-konjugierte rekombinante, humane, saure α -Glucosidase, gelangt über den M6P-Rezeptor in Muskelzellen	Enzymersatztherapie bei Patienten mit Morbus Pompe	kein Eintrag
Birkenrindenextrakt (Filsuvez®) O	Fördert Differenzierung und Migration von Keratinozyten sowie Wundheilung über einen nicht bekannten Mechanismus	Wundbehandlung bei dystropher und junktionaler Epidermolysis bullosa (EB), ab 6 Monaten.	noch nicht festgelegt
Efgartigimod alfa (Vyvgart®) O	Fragment des humanen IgG1-Antikörpers, bindet neonatalen Fc-Rezeptor und vermindert pathogene IgG-Autoantikörper	die Anti-Acetylcholin-Rezeptor-Antikörper positive generalisierte Myasthenia gravis	noch nicht festgelegt
Eladocogene exuparvovec (Upstaza®) O	Gentherapie, rekombinanter AAV2-Vektor, enthält humane cDNA für das Dopa-Decarboxylase-Gen, Injektion ins Putamen	Aromatische-L-Aminosäure-Decarboxylase-(AADC)-Mangel mit einem schweren Phänotyp	noch nicht festgelegt
Eptacog beta (aktiv) (Cevenfacta®) O	Rekombinanter Gerinnungsfaktor VIIa, aktiviert Faktor X und Thrombinbildung, hemmt die Spaltung von Faktor V durch Protein C	angeborene Hämophilie bei hochtitrigen Inhibitoren gegen die Gerinnungsfaktoren VIII oder IX	kein Eintrag
Inebilizumab (Uplizna®) S	monoklonaler Antikörper gegen CD19, führt über Antikörper-abhängige zelluläre Zytolyse und Phagozytose zur B-Zell-Depletion	Anti-Aquaporin-4-(AQP4)-IgG seropositive Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen	nicht belegt (IQWiG)
Lonafarnib (Zokinvy®) O	hemmt Farnesyltransferase und verhindert die Akkumulation der dauerhaft farnesylierten Lamin A Mutante (Progerin) in der Membran der Zellkerne. die als wichtigen pathophysiologischer Schritt bei einigen Progerien gilt.	Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom oder progeroide Lamino-pathie mit einer heterozygoten oder einer homozygoten oder zusammengesetzten heterozygoten ZMPSTE24-Mutation	noch nicht festgelegt
Maribavir (Livtencity®) O	Kompetitive Hemmung Inhibitor der UL97-Serin-/Threoninkinase durch Hemmung der ATP-Bindung, behindert Replikation	refraktäre Cytomegalievirus-Infektion nach Organ- oder Stammzelltransplantation	noch nicht festgelegt
Olipudase alfa (Xenpozyme®) O	rekombinante, humane, saure Sphingomyelinase, reduziert die Anreicherung von Sphingomyelin in den Organen von Patienten mit einem Mangel an saurer Sphingomyelinase (nicht ZNS-gängige Enzymersatztherapie)	Behandlung von Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase außerhalb des ZNS bei Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen mit Typ A/B oder Typ B	noch nicht festgelegt
Pegcetacoplan (Aspaveli®) O	pegylierte Pentadekapeptide, binden an die Komplementsystem-Proteine C3 und C3b und reduzieren die Komplementaktivierung und die extravaskuläre und intravaskuläre Hämolyse	paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie (PNH) bei Anämie trotz C5-Inhibitor (Eculizumab, Ravulizumab)	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Setmelanotid (Imcivree®) O	Agonist am Melanocortin-4-Rezeptor (MC4-R), dessen physiologische Aktivierung u.a. durch α -Melanozyten-stimulierendes Hormon (α MSH), zum Sättigungsgefühl und zur Reduktion des Appetites beiträgt, α MSH entsteht aus POMC, dessen Bildung über die Aktivierung von Leptinrezeptoren erhöht wird	Bei Kindern ab 6 Jahren zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls bei Bardet-Biedl-Syndrom (BBS), Proopiomelanocortin(POMC)-Mangel (einschließlich PCSK1) oder Leptinrezeptor-Mangel.	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Somatrogon (Ngenla®) O	Glykosyliertes Fusionsprotein aus humanem Wachstumshormon drei Kopien des C-terminalen Peptids (CTP) aus der β -Kette des humanen Choriongonadotropins (hCG)	Bei Kindern und Jugendlichen ab 3 Jahren mit Wachstumsstörung durch unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Valoctocogen Roxaparvovec (Roctavian®) O	Gentherapie zur dauerhaften endogenen FVIII Bildung, zelluläre Transfektion durch den Vektor Adenoassoziertes Virus 5 (AAV5) bildet Episom, das die FVIII SQ-Variante (Deletion der B-Region;) exprimiert	schwere Hämophilie A bei Erwachsenen ohne Faktor-VIII-Inhibitoren und ohne Antikörper gegen AAV5	noch nicht festgelegt
Voxelotor (Oxbryta®) O	Bindet reversibel an das N-terminale Ende der α -Kette des mutierten β -Globins HbS und hemmt dessen Polymerisation, die die Sichelzellform der Erythrozyten und damit Vaso-Oklusionen und intravasale Hämolyse auslöst	ab 12 Jahren zur Behandlung von hämolytischer Anämie infolge Sichelzellerkrankheit	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Vutrisiran (Amvuttra®) O	synthetische doppelsträngige siRNA, löst durch RNA-Interferenz den Abbau der mRNA für Transthyretin (Wildtyp und Mutanten) aus, die Translation des Proteins unterbleibt	hereditäre Transthyretin-Amyloidose bei Erwachsenen mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2	noch nicht festgelegt

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2022

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Antinfektiva			
Cilgavimab/ Tixagevimab (Evusheld®)	humane monoklonale Antikörper gegen nicht überlappende Regionen der Spike-Protein-Rezeptor-Bindungsdomäne von SARS-CoV-2	Präexpositionsprophylaxe einer Coronavirus-19-Erkrankung (COVID-19)	noch nicht festgelegt
Eravacyclin (Xerava®)	Tetrazyklin, bindet an die ribosomale Untereinheit 30S, stört bakterielle Proteinsynthese	komplizierte intraabdominale Infektionen bei Erwachsenen	belegt (als Reserveantibiotikum)
Sotrovimab (Xevudy®)	humaner monoklonaler Antikörper, bindet an die Rezeptor-bindende Domäne des Spike-Proteins von SARS-CoV-2 und hemmt die Fusion der viralen Hülle mit der Zellmembran	COVID-19 bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 J., die keine Sauerstoffzufuhr benötigen und ein erhöhtes Risiko haben, einen schweren Verlauf zu entwickeln	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen (nur bei Erwachsenen)
Nirmatrelvir/Ritonavir (Paxlovid®)	hemmt durch kovalente Bindung die SARS-CoV-2-Hauptprotease (auch 3C-ähnliche Protease nsp5-Protease) und verhindert die Verarbeitung Polyproteinvorläufer und die Virusreplikation	COVID-19 bei Erwachsenen, die keine zusätzliche Sauerstoffzufuhr benötigen und ein erhöhtes Risiko haben, einen schweren COVID-19-Verlauf zu entwickeln	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen
Autoimmunerkrankungen			
Anifrolumab (Saphnelo®)	humaner monoklonaler Antikörper gegen die Untereinheit 1 des Typ-I-Interferonrezeptors, hemmt die Signaltransduktion und die Aktivität von Typ-I-Interferonen (INFα, β, ε, κ, ω)	schwerer aktiver Autoantikörperpositiver systemischer Lupus erythematodes bei Erwachsenen	nicht belegt
Diroximelfumarat (Vumerity®)	Hauptmetabolit Monomethylfumarat aktiviert den Nuclear factor (erythroid-derived 2)-like 2 (Nrf2)-Transkriptionsweg	schubförmig remittierende Multiple Sklerose	nicht belegt (IQWiG) Verfahren ausgesetzt
Andere			
Abrocitinib (Cibinqo®)	Inhibitor der Januskinase (JAK)1, hemmt bevorzugt die durch Zytokine, u.a. Interleukin-(IL)4 und IL-13, über JAK1 induzierten Signale	mittelschwere bis schwere atopischer Dermatitis bei Erwachsenen	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen
Aviptadil (Invicorp®) Kombi mit Phentolamin	Synthetisches vasoaktives intestinales Polypeptid (VIP), aktiviert Gas-gekoppelten VIP-Rezeptor-1 in glatten Muskelzellen	symptomatischen Behandlung der erektilen Dysfunktion bei erwachsenen Männern	kein Eintrag
Daridorexant (Quviviq®)	Orexin-Rezeptor-Antagonist, bindet an Orexin-1- und Orexin-2-Rezeptoren und vermindert Wachheit induziert durch Orexin A und Orexin B	zur Behandlung von Erwachsenen mit anhaltenden Schlafstörungen	noch nicht festgelegt
Desvenlafaxin (Desveneurax®)	selektiver Serotonin-Noradrenalin-Wiederaufnahmehemmer (SNRI)	Behandlung der Major Depression bei Erwachsenen.	kein Eintrag
Difelikefalin (Kapruvia®)	synthetisches D-Aminosäure-Peptid, selektiver κ-Opioidrezeptoragonist, geringe ZNS-Gängigkeit	Pruritus bei chronischer Nierenerkrankung und Hämodialyse	noch nicht festgelegt
Eptinezumab (Vyepti®)	Humaner Antikörper gegen Calcitonin-Gen-Related-Peptide (CGRP)	Migräneprophylaxe bei episodischer oder chronischer Migräne (≥4 Migränetage pro Monat)	nicht belegt (IQWiG)
Faricimab (Vabysmo®)	humanisierter bispezifischer Antikörper gegen Angiopoietin-2 (Ang-2) und vaskulären endothelialen Wachstumsfaktor A (VEGF-A)	neovaskuläre altersabhängige Makuladegeneration, Visusbeeinträchtigung infolge diabetischen Makulaödems	noch nicht festgelegt
Finerenon (Kerendia®)	nichtsteroidaler, selektiver Antagonist des Mineralokortikoid-Rezeptors (MR)	chronische Nierenerkrankung (Stadium 3 und 4 mit Albuminurie) bei Typ-2-Diabetes	noch nicht festgelegt
Glucarpidase (Voraxaze®)	rekombinantes bakterielles Enzym, das Methotrexat in seine inaktiven Metaboliten umwandelt (wirkt nicht intrazellulär)	Verringerung toxischer Plasmakonzentrationen von Methotrexat bei Erwachsenen und Kindern (im Alter ab 28 Tage)	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Netarsudil/Latanoprost (Roclanda®)	Netarsudil hemmt Rho-Kinase und steigert den trabekulären Abfluss, während das bekannte Latanoprost den uveoskleralen Abfluss steigert	Senkung von erhöhtem Augeninnendruck bei primärem Offenwinkelglaukom oder okulärer Hypertension	noch nicht festgelegt
Sphäroide aus humanen autologen Matrix-assoziierten Chondrozyten (Spherox®)	autologe Chondrozyten-Implantation, Entnahme patienteneigener Chondrozyten aus gesundem Knorpel, um diese nach <i>in vitro</i> -Vermehrung in den Knorpeldefekt zu implantieren.	Reparatur symptomatischer Gelenkknorpeldefekte der Femurkondyle und der Patella des Knies	Aufnahme in die vertragsärztliche Versorgung wird als notwendig erachtet.
Tezepelumab (Tezpire®)	monoklonaler Antikörper gegen thymisches stromales Lymphopoietin (TSLP), der dessen Interaktion mit dem heterodimeren TSLP-Rezeptor verhindert	Erhaltungstherapie bei schwerem unzureichend kontrolliertem Asthma	noch nicht festgelegt

Autor: Prof. Dr. Georg Kojda, Fachpharmakologe, Fachapotheker für Arzneimittelinformation, Institut für Pharmakologie, Universitätsklinikum Düsseldorf, kojda@uni-duesseldorf.de, Herausgeber „Fortbildungstelegramm Pharmazie“ (siehe www.kojda.de), =Orphan Drug (nach EMA-Status), =seltene Erkrankung nach www.orpha.net, kein Orphan Drug Status, *nach www.g-ba.de (Bewertungen des IQWiG sind nicht bindend), Stand 07.01.2023. Bitte beachten Sie die Nutzungsbedingungen: <http://www.uni-duesseldorf.de/kojda-pharmalehrbuch/FortbildungstelegrammPharmazie/impressum.html>