

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 (Livtency®) 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 Sichelzellkrankheit | 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 Femurcondyle 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>