

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2020

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Antiiinfektiva			
COVID-19-mRNA-Impfstoff (Nukleosid-modifiziert) (Comirnaty®)	mRNA (BNT162b2), die transient das SARS-CoV-2 Spike (S)-Antigen kodiert, welches die Bildung neutralisierender Antikörper sowie eine Immunzellantwort induziert	für Personen ab 16 Jahren zur Vorbeugung von COVID-19 durch das SARS-CoV-2-Virus	noch nicht im Handel (EMA Zulassung am 21.12.2020)
COVID-19-mRNA-Impfstoff (Nukleosid-modifiziert) (COVID-19 Vaccine Moderna®)	mRNA (mRNA-1273), die transient das SARS-CoV-2 Spike (S)-Antigen kodiert, welches die Bildung neutralisierender Antikörper sowie eine Immunzellantwort induziert	für Personen ab 18 Jahren zur Vorbeugung von COVID-19 durch das SARS-CoV-2-Virus	noch nicht im Handel (EMA Zulassung am 6.1.2021)
Ibalizumab (Trogarzo®)	Antikörper gegen die Domäne 2 von CD4, der verhindert, dass HIV-1 die CD4 ⁺ -T-Zellen infiziert	in Kombination mit anderen antiretroviralen Arzneimitteln zur Behandlung einer multi-resistenten HIV-1-Infektion	nicht belegt (IQWiG)
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	noch nicht im Handel (EMA Zulassung am 25.6.2020)
Zytostatika			
Acalabrutinib (Calquence®)	hemmt Bruton Tyrosinkinase (MTK)	chronische lymphatische Leukämie (CLL)	noch nicht festgelegt
Alpelisib (Piqray®)	hemmt α -spezifische Phosphatidyl-inositol-3-Kinase (PI3Ka) Klasse I was die Transkription von Östrogenrezeptoren in Brustkrebszellen und die Effektivität von Fulvestrant steigert	metastasierendes Mammakarzinom mit PIK3CA-Mutation bei Männern und postmenopausalen Frauen, Kombination mit Fulvestrant	Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen bei Frauen (IQWiG)
Avapritinib (Ayvakyt®)	hemmt die Tyrosinkinasen-Mutanten PDGFRA-D842V- und KIT-D816V	gastrointestinale Stromatumoren (GIST) mit Thrombozyten-Wachstumsfaktor-Rezeptor-alpha (PDGFRA)-D842V-Mutation	noch nicht festgelegt
Belantamab-Mafodotin (Blenrep®)	Belantamab bindet an das B-Zell-Reifungsantigen, wird internalisiert und setzt den zytostatischen Mitose-Hemmer Mafodotin frei	multiples Myelom	noch nicht festgelegt (EMA: signifikanter Fortschritt)
Darolutamid (Nubeqa®)	hemmt die Bindung von Androgenen an den Androgenrezeptor	nicht-metastasiertes kastrations-resistentes Prostatakarzinom	Hinweis auf beträchtlichen Zusatznutzen
Entrectinib (Rozlytrek®)	hemmt die Tropomyosin-Rezeptor-Tyrosinkinasen TRKA, TRKB und TRKC sowie die Tyrosin-Proteinkinase ROS (ROS1) und die anaplastische Lymphom-Kinase	solide Tumoren mit neurotropher Tyrosinrezeptor-Kinase (NTRK)-Genfusion	nicht belegt (IQWiG) (EMA: signifikanter Fortschritt)
Glasdegib (Daurismo®)	bindet an Smoothed (SMO) Protein, hemmt den Hedgehog (Hh)-Signalweg und vermindert die Aktivität des Transkriptionsfaktors (Glioma-Associated Oncogene)	akute myeloische Leukämie (AML) bei Erwachsenen	noch nicht festgelegt
Mogamulizumab (Poteligeo®)	Immunglobulin, das selektiv an das Oberflächenprotein CCR4 bindet und T-Zell-Malignom-Zellen depletiert	Mycosis fungoides oder Sezary-Syndrom (beide kutane T-Zell-Lymphome)	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Polatuzumab Vedotin (Polivy®)	Polatuzumab bindet an das CD79b-Protein des B-Zell-Rezeptors und setzt den zytostatischen Mitose-Hemmer Vedotin frei	rezidivierendes oder refraktäres diffuses großzelliges B-Zell-Lymphom (DLBCL)	Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen
Talazoparib (Talzenna®)	Poly-(Adenosindiphosphat-Ribose-)-Polymerase (PARP)-Inhibitor, verhindert Reparatur, -Replikation und -Transkription von DNA und verursacht Apoptose/Zelltod	fortgeschrittenes oder metastasiertes Mammakarzinom mit BRCA1/2-Mutationen	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Betibeglogen Autotemcel (Zynteglo®)	autologe Stammzellen (CD34 ⁺) mit einem viralen Vektor transfiziert, der intaktes Human- β -Globin (β -A-T87Q-Globin) exprimiert, bilden nach i.v. Rückinjektion und Anreicherung im Knochenmark wahrscheinlich lebenslang Erythrozyten mit intaktem Hämoglobin	beta-Thalassämie (TDT) ohne beta0/beta0-Genotyp	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, (EMA: signifikanter Fortschritt)
Bulevirtid (Hepcludex®)	inaktiviert den HBV-/HDV- Gallensalz-Transporter Natriumtaurocholat-kotransportierendes Polypeptid (NTCP) und blockiert das Eindringen von HBV und HDV in Hepatozyten	chronische Hepatitis-Delta-Virus (HDV)-Infektion mit kompensierter Lebererkrankung und HDV Nachweis	noch nicht festgelegt

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2020

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Crizanlizumab (Adakveo®) 	Antikörper, bindet an P-Selektin auf aktiviertem Endothel und Thrombozyten, blockiert die Interaktionen zwischen Blutzellen und verhindert so eine Vaso-Okklusion	Sichelzellkrankheit mit wiederkehrenden vaso-okklusiven Krisen (VOCs)	noch nicht festgelegt
Elexacaftor / Ivacaftor / Tezacaftor (Kaftrio®) 	Elexacaftor / Tezacaftor verbessern zelluläre Prozessierung des „cystic fibrosis transmembrane conductance regulator“ (CFTR), Ivacaftor erhöht dadurch die CFTR Offenwahrscheinlichkeit	zystische Fibrose (CF) mit F508del-Mutation im CFTR-Gen	noch nicht festgelegt (EMA: signifikanter Fortschritt)
Givosiran (Givlaari®) 	kleine interferierende RNA (siRNA), bewirkt Abbau von Aminolävulin-säure-Synthase-1 (ALAS1) mRNA und hemmt Synthese der Neurotoxine ALA und Porphobilinogen (PBG)	akute hepatischen Porphyrie (AHP) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren.	Hinweis auf beträchtlichen Zusatznutzen (EMA: signifikanter Fortschritt)
Luspatercept (Reblozyl®)	rekombinantes Fusionsprotein, bindet an Liganden der TGF-β-Familie (Transforming growth factor beta), hemmt den überaktiven Smad2/3-Signalweg und fördert die Reifung von Erythrozyten	transfusionsabhängige Anämie bei myelodysplastischen Syndromen (MDS) oder Beta-Thalassämie	noch nicht festgelegt
Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®) 	Einschleusung einer funktionsfähigen Kopie des Survival-Motoneuron-Gens (SMN1) als episomale DNA (Minichromosom) mittels rekombinatem AAV-Vektor in Motoneurone, bewirkt eine vermutlich lebenslang anhaltende SMN1-Proteinexpression in Motoneuronen	5q-assozierte spinale Muskelatrophie (SMA) mit bi-allelischer Mutation im SMN1-Gen, auch bei bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens.	Verfahren ausgesetzt (EMA: signifikanter Fortschritt)
Osilodrostat (Isturisa®) 	hemmt die 11β-Hydroxylase (CYP11B1) und damit den letzten Schritt der endogenen Biosynthese von Cortisol in der Nebennierenrinde	endogene Cushing-Syndroms bei Erwachsenen.	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Autoimmunerkrankungen			
Filgotinib (Jyseleca®)	Tyrosinkinase-Inhibitor, hemmt Januskinasen, vor allem JAK1-Signalwege und damit die Wirkung von Interleukinen und Interferonen	mittelschwere bis schwere aktive rheumatoide Arthritis bei unzureichender vorheriger krankheitsmodifizierender Therapie	noch nicht festgelegt
Ozanimod (Zeposia®)	hemmt Sphingosin-1-Phosphat-Rezeptoren 1 (bevorzugt) und 5 und damit die Migration von Lymphozyten aus den Lymphknoten	schubförmig remittierende Multiple Sklerose (RRMS) mit aktiver Erkrankung	Hinweis für einen geringen Zusatznutzen
Siponimod (Mayzent®)	hemmt Sphingosin-1-Phosphat-Rezeptoren 1 und 5 und damit die Migration von Lymphozyten aus den Lymphknoten	sekundär progrediente Multiple Sklerose (SPMS) mit Krankheitsaktivität,	nicht belegt
Upadacitinib (Rinvoq®)	Tyrosinkinase-Inhibitor, hemmt Januskinasen, vor allem JAK1-Signalwege und damit die Wirkung von Interleukinen und Interferonen	mittelschwere bis schwere aktive rheumatoide Arthritis bei unzureichender vorheriger krankheitsmodifizierender Therapie	Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen
Andere			
Bempedoinsäure (Nilemdo®)	hemmt die Adenosintriphosphat-Citrat-Lyase (ACL) und damit die Synthese von Cholesterin in der Leber, erhöht LDL-Rezeptor Expression und senkt LDL im Blut	Zusatztherapie bei primärer Hypercholesterinämie (heterozygot familiär und nicht-familiär) oder gemischter Dyslipidämie	noch nicht festgelegt
Brolucizumab (Beovu®)	Antikörper, bindet an Vascular Endothelial Growth Factor (VEGF)-A Isoformen, vermindert die Stimulation der VEGF-Rezeptoren 1 und 2 und damit die Neovaskularisation	neovaskuläre (feuchte) altersabhängige Makuladegeneration (AMD)	nicht belegt
Cytisin (Asmoken®)	hochaffiner partieller Agonist an nikotinergen α4β2-Rezeptoren, verdrängt Nikotin	Raucherentwöhnung	kein Eintrag (Lifestyle Medikament), keine EMA-Zulassung
Deoxycholsäure (Kybella®)	verursacht Zytolyse mit Zerstörung von Adipozyten und nachfolgender Erhöhung des Gesamtkollagens	submentales Fett (Doppelkinn) bei erheblicher psychologischer Belastung	kein Eintrag (Lifestyle Medikament)
Esketamin (Spravato®) (siehe Hinweis unten)	Antagonismus am N-Methyl-D-Aspartat-(NMDA)-Glutamatrezeptor bewirkt erhöhte Neurotrophin-Signale und Wiederherstellung synaptischer Funktionen (auch dopaminerg)	schwere depressive Episode bei therapieresistenter Major Depression	noch nicht im Handel (Zulassung 19.12.2019)
Fostamatinib (Tavlesse®)	Tyrosinkinase-Hemmer mit nachgewiesener Wirksamkeit gegen eine Tyrosinkinase der Milz (SYK), hemmt B-Zell-Antikörperbildung	therapieresistente chronische Immunthrombozytopenie	nicht belegt

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2020

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Andere			
Naldemedin (Rizmoic®)	Antagonist an μ -, δ - und κ -Opioidrezeptoren mit vernachlässigbarer ZNS-Penetration bei der empfohlenen Dosis (Naltrexon-Derivat)	Opioid-induzierte Obstipation	nicht belegt
Romosozumab (Evenity®)	Antikörper, bindet an Sklerostin, inhibiert dessen Knochenaufbau-hemmende Wirkung auf Osteoblasten und stimuliert dadurch den Knochenaufbau, hemmt auch den Knochenabbau durch Osteoklasten	manifeste Osteoporose bei postmenopausalen Frauen mit deutlich erhöhtem Frakturrisiko	Hinweis für einen geringen Zusatznutzen
Solriamfetol (Sunosi®)	nicht geklärt, evtl. Dopamin- und Noradrenalin-Wiederaufnahme-Hemmung	Verbesserung der Wachheit und zur Reduktion übermäßiger Schläfrigkeit während des Tages bei Narkolepsie oder Schlafapnoe	nicht belegt (bei Narkolepsie)
Trifaroten (Selgamis®)	Retinoid, relative selektiver Agonist am Retinsäurerezeptor (RAR) γ	lokale Therapie der Acne vulgaris im Gesicht und/oder am Rumpf (EMA-Orphan Status zur Behandlung der autosomal-rezessiven, angeborenen Ichthyose)	nicht belegt (IQWiG) keine EMA-Zulassung

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 26.01.2020. Bitte beachten Sie die Nutzungsbedingungen: <http://www.uni-duesseldorf.de/kojda-pharmalehrbuch/FortbildungstelegrammPharmazie/impressum.html>

Hinweis:

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>