


WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2024

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Zytostatika			
Capivasertib (Truqap®)	bindet kompetitiv an die ATP-Bindestelle der Serin/Threonin-spezifischen Proteinkinasen AKT1, AKT2 und AKT3 und verhindert die Phosphorylierung von Effektorproteinen, die u.a. Zellteilung und Tumorwachstum fördern	Estrogenrezeptor(ER)-positives, HER2-negatives, lokal fortgeschrittenes oder metastasiertes Mammakarzinom in Kombination mit Fulvestrant	nicht belegt
Elranatamab (Elrexio®) 	bispezifischer, 4-kettiger Antikörper der an B-Zell-Reifungsantigen der Myelomzellen und an CD3 von T-Zellen bindet, löst eine T-Zell vermittelte Zytotoxizität an Myelomzellen aus	Multiples Myelom	nicht belegt
Fruquintinib (Fruzaqla®)	hemmt selektiv die Tyrosinkinase-Aktivität von vaskulären endothelialen Wachstumsfaktor (VEGF)-Rezeptoren VEGFR-1, VEGFR-2 und VEGFR-3, und damit die Angio- und Lymphangiogenese und das Tumorwachstum	vorbehandeltes metastasierendes kolorektales Karzinom	Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen
Futibatinib (Lytgobi®) 	hemmt selektiv und irreversibel Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptoren (FGFR)1-4 durch Bindung an die ATP-Bindestelle der Kinase-Domäne und damit das Tumorwachstum	vorbehandeltes lokal fortgeschrittenes oder metastasiertes Cholangiokarzinom mit FGFR2-Fusion oder FGFR2-Rearrangement	nicht belegt
Lutetium(177Lu) vipivotidtraxetan (Pluvicto®)	das Prostata-spezifisches-Membranantigen (PSMA)-617-Molekül besteht aus dem auf PSMA abzielenden Pharmakophor Glutamat-Harnstoff-Lysin, dem Metallchelator DOTA und einem verbindenden Linker, über die spezifische Bindung an PSMA gibt 177Lu-PSMA-617 therapeutische Strahlung an Krebszellen ab	in Kombination mit Androgenprivationstherapie mit oder ohne Inhibition des Androgenrezeptor-Signalwegs zur Behandlung von progredientem PSMA-positiven, metastasierten kastrationsresistentem Prostatakarzinom	Hinweis auf einen beträchtlichen Zusatznutzen
Mirvetuximab-Soravtansin (Elahere®) 	Konjugat aus Folatrezeptor-alpha (FRa) Antikörper und dem Mikrotubuli-Inhibitor Soravtansin, Bindung des AK an FRa ermöglicht Steuerung der Zytotoxizität	vorbehandeltes FRa-positives Ovarial-, Tuben- oder Peritonealkarzinom bei Frauen	noch nicht festgelegt
Pirtobrutinib (Jaypirca®) 	hemmt kompetitiv den Wildtyp der Bruton-Tyrosinkinase (BTK) und die Mutanten C481S, C481T, C481G, C481R, und somit die Signalübertragung und das Überleben von B-Zellen	nach Vorbehandlung mit einem BTK-Hemmer rezidiertes oder refraktäres Mantelzelllymphom	noch nicht festgelegt
Quizartinib (Vanflyta®) 	hemmt kompetitiv die ATP-Bindung an die intrazelluläre Tyrosinkinase-Domäne der inaktiven Form der Feline McDonough Sarcoma-like tyrosine kinase 3 internal tandem duplication (FLT3-ITD) und somit die Zellproliferation bei akuter myeloischer Leukämie (AML)	in Kombination mit einer Standard-Induktions- und Konsolidierungstherapie gefolgt von einer Mono-Erhaltungstherapie nach Erstdiagnose einer FLT3-ITD-positiven AML	nicht belegt
Tislelizumab (Tevimbra®) 	humanisierter Antikörper der an die extrazelluläre Domäne von humanem Programmed Cell Death Protein-1 (PD-1) auf T-Zellen bindet und kompetitiv die T-Zell-hemmende Bindung des auf Tumorzellen exprimierten Liganden (PD-L1) blockiert (Immunstimulanz).	Adenokarzinom des Magens oder des gastro-ösophagealen Übergangs, Nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom, Plattenepithelkarzinom des Ösophagus (nur bei erhöhter PD-L1-Expression)	noch nicht festgelegt
Zolbetuximab (Vyloy®) 	chimärer (Maus/Mensch-IgG1) monoklonaler Antikörper gegen das Tight-Junction-Molekül CLDN18.2, dezimiert CLDN18.2-positive Zellen durch antikörperabhängige zelluläre Zytotoxizität (ADCC) und komplementabhängige Zytotoxizität (CDC) und hemmt damit das Wachstum der Tumore und Metastasen	in Kombination mit Chemotherapie bei Claudin (CLDN) 18.2 positivem lokal fortgeschrittenen inoperablen oder metastasierten HER2-negativen Adenokarzinom des Magens oder des gastroösophagealen Übergangs	noch nicht festgelegt
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Artesunat (Artesunate Amivas®) 	in-vivo aktiver ist Metabolit Dihydroartemisinin, in den parasitären Vakuolen infizierter Erythrozyten entstehen durch Fe ²⁺ des Hämoglobins induzierter reduktiver Spaltung Kohlenstoffzentrierte die Parasiten schädigende Radikale	initiale Behandlung von schwerer Malaria bei Erwachsenen und Kindern	noch nicht festgelegt
Crovalimab (Piasky®) 	humanisierter monoklonaler IgG1-Antikörper, gegen das Komplementprotein C5, verhindert dessen Spaltung in die Untereinheiten C5a und C5b und die Bildung des Membran-Angriffskomplexes, und damit die Membranruptur und die Lyse von Erythrozyten (Hämolyse)	ab 12 Jahren (Gewicht ≥40 kg) bei paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie mit hoher Krankheitsaktivität oder klinischer Stabilität nach 6-monatiger Therapie mit anderen C5-Inhibitoren (wie Eculizumab, Ravulizumab)	nicht belegt oder Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen (IQWiG)

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2024


Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Danicopan (Voydeya®) 	hemmt selektiv die Protease „Komplementfaktor D ⁿ “ und damit die durch den alternativen Weg vermittelte Ablagerung von C3-Fragmenten auf Erythrozyten mit konsekutiver extravaskulärer Hämolyse bei PNH	Zusatztherapie zu Ravulizumab oder Eculizumab bei paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH) und hämolytischer Anämie wegen extravaskulärer Hämolyse	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Efanesoctocog alfa (Altuvoct®) 	Rekombinante mit einer von Willebrand-Faktor Domäne und weiteren Peptiden fusionierte Faktor VIII Variante mit verlängerter Halbwertszeit (1 Woche)	Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A bei allen Altersgruppen	nicht belegt
Elafibranor (Iqirvo®) 	Dualer Agonist an Peroxisomen-Proliferator-aktivierten Rezeptoren (PPAR), Aktivierung von PPAR α verringert Synthese von Gallensäuren, erhöht deren Entgiftung und moduliert die Ausscheidung; Aktivierung von PPAR δ reguliert Transporter, die Gallenbestandteile absorbieren und ausscheiden und reduziert so die Gallentoxizität und verbessert die Cholestase	Behandlung der primär biliären Cholangitis (PBC) in Kombination mit Ursodeoxycholsäure (UDCA) oder als Monotherapie	noch nicht festgelegt
Iptacopan (Fabhalta®) 	hemmt das Akute-Phase-Protein Komplementfaktor B und die Aktivierung der C3 Konvertasen C3bBb und C3(H ₂ O)Bb und damit den alternativen Weg der Komplementaktivierung sowie die intra- und extravaskuläre Hämolyse	Monotherapie bei Erwachsenen mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie und hämolytischer Anämie	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Momelotinib (Omjjara®) 	Momelotinib und der Metabolit M21 hemmen die Januskinasen 1 und 2 (JAK1/JAK2), die JAK2-V617F-Mutante und die Aktivin-Rezeptor-ähnliche Kinase 2 (ALK-2), die bei Myelofibrose überaktiviert sind, zur Selektivität gegenüber anderen Kinasen sind mehr Daten erforderlich	krankheitsbedingte Splenomegalie oder Symptome bei Erwachsenen mit primärer oder sekundärer Myelofibrose und Anämie	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Omaveloxolon (Skyclarys®) 	bindet selektiv und reversibel an Keap1 und aktiviert Nuclear Factor Erythroid 2-related Factor 2 (Nrf2), der die Transkription von Genen moduliert, die an der Regulierung der Mitochondrienfunktion, oxidativem Stress und Entzündung beteiligt sind, Nrf2 ist wegen des Auslösers Frataxin-Defizienz herunterreguliert	Behandlung der Friedreich-Ataxie bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 16 Jahren	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Pegzilarginase (Loargys®) 	Kobalt-substituiertes, PEGyliertes rekombinantes menschliches Arginase-1-Enzym mit erhöhter Stabilität, stärkerer katalytischer Aktivität und längerer Halbwertszeit im Vergleich zum nativen Enzym (Enzymersatztherapie)	Behandlung von Arginase-1-Mangel (auch Hyperargininämie) bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern ab 2 Jahren.	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
rADAMTS13 (Adzynma®) 	rADAMTS13, ein Gemisch rekombinanter nativer ADAMTS13 (Apadamtase alfa) und der Q97R Variante (Cinxadamtase alfa), spaltet von Willebrand Faktor (vWF)-Multimere zum physiologisch aktiven Protein und vermindert so die Akkumulation großer an Thrombozyten bindende vWF-Multimere mit Bildung von Mikrothromben (verursacht Thrombozytopenie)	Enzymersatztherapie (EET) zur Behandlung eines ADAMTS13-Mangels bei kongenitaler thrombotisch-thrombozytopenischer Purpura (CTTP)	noch nicht festgelegt
Rezafungin (Rezzayo®) 	hemmt selektiv die 1,3- β -D-Glucansynthase bei verschiedenen Candida-Arten wie C. albicans und C. glabrata, destabilisiert die Zellwand und wirkt fungizid (Echinocandin)	Behandlung der invasiven Candidainfektion bei Erwachsenen	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Rozanolixizumab (Rystiggo®) 	Humanisierter (IgG)4-Antikörper gegen den neonatalen kristallisierbaren Fc-Rezeptor, führt zu einem verstärkten Abbau von IgGs, mit dem Ziel, pathogene Autoantikörper zu reduzieren	Zusatzbehandlung bei erwachsenen Patienten mit generalisierter Myasthenia gravis, die Antikörper-positiv bezüglich Anti-AChR (Acetylcholin-Rezeptor)- oder Anti-MuSK (Muskelspezifische Tyrosinkinase) sind	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen oder Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Sotatercept (Winrevair®) 	rekombinantes humanes homodimeres Fusionsprotein, das aus der extrazellulären Domäne des humanen Aktivinrezeptors Typ IIA (ActRIIA) und der Fc-Domäne von humanem IgG1 besteht, bindet Aktivin-A und vermindert Hyperproliferation von vaskulären Zellen, pathologisches Remodeling pulmonaler Arterien und den pulmonalen Gefäßwiderstand	in Kombination mit anderen Therapien gegen pulmonale arterielle Hypertonie (PAH) zur Behandlung von PAH bei Erwachsenen mit der WHO-Funktionsklasse (FK) II bis III zur Verbesserung der körperlichen Leistungsfähigkeit	nicht belegt (IQWiG)

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2024

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Sparsentan (Filspari®) 	hochselektiver Antagonist für den Endothelin-Typ-A-Rezeptor und den Angiotensin-II-(Ang-II)-Typ-1-Rezeptor, die beide an der Pathophysiologie seltener proteinurischer glomerulärer Erkrankungen beteiligt sind	Behandlung von Erwachsenen mit primärer Immunglobulin-A-Nephropathie (IgAN) mit einer Ausscheidung von Eiweiß im Urin von $\geq 1,0$ g/Tag	noch nicht festgelegt
Tofersen (Qalsody®) 	DNA-Antisense-Oligonukleotid (Gapmer-ASO), komplementär zu einem Teil der mRNA für menschliche Superoxid-Dismutase 1 (SOD1), die Bindung (Hybridisierung) bewirkt den Abbau der mRNA für SOD1 und verringert die SOD1-Proteinsynthese unabhängig von allen bekannten SOD1-Mutationen.	Behandlung von Erwachsenen mit amyotropher Lateralsklerose (ALS), die mit einer Mutation im Superoxid-Dismutase 1 (SOD1)-Gen assoziiert ist	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Vamorolon (Agamree®) 	Vamorolon ist ein Steroid und wirkt als selektiver Agonist des Glukokortikoid-Rezeptors und als Antagonist des Mineralokortikoid-Rezeptors	Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Zilucoplan (Zilbrysq®) 	Peptid mit 15 Aminosäuren, bindet an Komplementfaktor(C)5 und hemmt die Spaltung in C5a und C5b sowie die Zell-Zytolyse initiiert durch Autoantikörper gegen den nikotinergen AChR, die Bindung an C5b von C5 blockiert auch die Bindung von gebildetem C5b an C6	als Zusatztherapie zur Standardbehandlung der generalisierten Myasthenia gravis bei erwachsenen Patienten, die Anti-Acetylcholinrezeptor-(AChR)-Antikörperpositiv sind	nicht belegt
Impfstoffe/Antiinfektiva			
Enmetazobactam (Exblifep®)	Kombination des bekannten bakterizid wirksamen Cephalosporins Cefipim (Zellwandsynthese-Hemmer) mit dem neuen Betalactamase(BL)-Hemmer Enmetazobactam (hemmt nicht BLs der Klassen B, C oder D)	Behandlung von komplizierten Harnwegsinfektionen und von nosokomialen Pneumonien bei Erwachsenen	kein Eintrag
RSV-mRNA-Impfstoff (mResvia®)	mRNA-basierter Impfstoff, kodiert für das F-Protein des Respiratorischen Synzytial-Virus in der Präfusionskonformation und stimuliert die Bildung neutralisierender Antikörper gegen RSV-A und RSV-B	aktive Immunisierung ab 60 Jahren zur Prävention von RSV Erkrankungen der unteren Atemwege	kein Eintrag, Impfstoffe ausgenommen
Tollwut-Impfstoff (Verorab®)	die dreimalige (PrEP) sowie die zweimalige (PEP) i.m. Gabe inaktivierter Viren des WISTAR-Tollwut-PM/WI38 1503-3M-Stamms induziert die Bildung von Tollwutvirus-neutralisierenden Antikörpern, PEP soll auch nach vollständiger PrEP Immunisierung erfolgen	zur prä-expositionellen (PrEP) und post-expositionellen (PEP) Prophylaxe gegen Tollwut in allen Altersgruppen	kein Eintrag, Impfstoffe ausgenommen
Vaborbactam/ Meropenem (Vaborem®)	Kombination des bekannten bakterizid wirksamen Carbapenems Meropenem (Zellwandsynthese-Hemmer) mit Vaborbactam, einem neuen Nicht-Beta-Lactam-Hemmer der Serin-Beta-Lactamasen der Klassen A und C, einschließlich Klebsiella pneumoniae Carbapenemase	Behandlung von komplizierten Harnwegs- und abdominalen Infektionen und von nosokomialen Pneumonien bei Erwachsenen	kein Eintrag
Autoimmunerkrankungen			
Etrasimod (Velsipity®)	Etrasimod ist ein Modulator der Aktivität von Sphingosin-1-Phosphat (S1P)-Rezeptor 1 (auch S1P 4,5), wirkt nach Bindung an S1P1 als funktioneller Antagonist, der die Internalisierung des Rezeptors auslöst und aufrechterhält, dies blockiert teilweise und reversibel den Austritt von Lymphozyten, aus den Lymphoidorganen	mittelschwere bis schwere aktive Colitis ulcerosa (CU), nach fehlgeschlagener konventioneller Therapie	nicht belegt
Ublituximab (Briumvi®)	chimärer monoklonaler Antikörper gegen ein Zelloberflächenantigen (CD20) auf Prä-B-Zellen, reifen B-Zellen und B-Gedächtniszellen (CD20), Bindung induziert Lyse von B-Zellen, überwiegend durch antikörperabhängige zellvermittelte Zytotoxizität (ADCC)	Behandlung von erwachsenen Patienten mit schubförmiger Multipler Sklerose (RMS) mit aktiver Erkrankung <i>[unabhängig von Progredienz]</i>	Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen, bei schwerem Verlauf oder erfolgloser Vorbehandlung: nicht belegt
Andere			
Abaloparatid (Eladynos®)	Peptid mit 34 Aminosäuren, das den Parathormon 1-Rezeptor aktiviert, bewirkt eine vorübergehende und begrenzte Zunahme der Knochenresorption und eine Erhöhung der Knochendichte	Behandlung der Osteoporose bei postmenopausalen Frauen mit erhöhtem Frakturrisiko	nicht belegt

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2024

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
	Andere		
Delgocitinib (Anzupgo®)	hemmt die Aktivität der 4 Tyrosinkinase (TK) Januskinase (JAK)1, JAK2, JAK3 und die TK 2 (TYK2) und damit die Wirkung von entzündungsfördernden Zytokinen wie Interleukine, Interferone und koloniestimulierende Faktoren (Multizytokin-Inhibitor)	Behandlung von mittelschwerem bis schwerem chronischem Handekzem (CHE) bei Erwachsenen, bei denen topische Kortikosteroide nicht ausreichen oder nicht geeignet sind	noch nicht festgelegt
Efbemalenograstim alfa (Ryzneuta®)	rekombinantes Fusionsprotein, nicht pegylierte Form von Granulozyten-koloniestimulierenden Faktor (G-CSF) mit verlängerter Wirkdauer aufgrund verminderter renalen Elimination, erhöht die Bildung neutrophiler Granulozyten	Verkürzung der Dauer von Neutropenien, Verminderung der Häufigkeit neutropenischen Fiebers bei zytotoxischer Chemotherapie bei Erwachsenen	nicht belegt
Fezolinetant (Veozza®)	Fezolinetant ist ein nicht-hormoneller selektiver Neurokinin(NK)-3 NK3-Rezeptor-Antagonist, hemmt NK-B Signale und die Aktivierung von Hitzeschutzreaktionen wie Schwitzen und Gefäßerweiterung (Hitzewallungen)	Hitzewallungen bei Menopause	
Insulin icodect (Awiqli®)	rekombinantes modifiziertes Humaninsulin, lange Wirkdauer durch Bindung an Albumin langsame Abgabe aus dem Interstitium sehr , lange Wirkdauer (HWZ ca. 1 Woche), daher nur einmal wöchentliche Injektion	Diabetes mellitus (Typ 1 und 2) bei Erwachsenen	nicht belegt (IQWiG)
Linzagolix (Yselty®)	selektiver, nicht peptidischer Gonadotropin-Releasing-Hormon(GnRH)-Rezeptorantagonist, reduziert follikelstimulierendes und luteinisierendes Hormon und die Bildung von Estradiol	erwachsenen Frauen im gebärfähigen Alter zur Behandlung mäßiger bis starker Symptome von Uterusmyomen und zur symptomatischen Behandlung der Endometriose	nicht belegt (IQWiG) noch nicht festgelegt
Vadadustat (Vafseo®)	hemmt die Hypoxie-induzierbarer-Faktor (HIF)-Prolylhydroxylase, verstärkt die Wirkung des Transkriptionsfaktor HIF, der u.a. die Erythropoietin-Produktion in der Niere stimuliert	zur Behandlung von symptomatischer Anämie infolge chronischer Nierenerkrankung bei chronischer Erhaltungsdialyse	nicht belegt
Vibegron (Obgemsä®)	selektiver Agonist am Gs-Protein gekoppelten Beta-3-Adrenorezeptor (β3-R), relaxiert die Detrusormuskulatur der Blase und erhöht die Blasenkapazität	symptomatische Therapie überaktiver Blase bei Erwachsenen	Verfahren ausgesetzt

Autor: Prof. Dr. Georg Kojda, Fachpharmakologe DGPT, 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.q-ba.de (Bewertungen des IQWiG sind nicht bindend), Stand 20.01.2025. Bitte beachten Sie die Nutzungsbedingungen: <https://kojda-pharmalehrbuch.hhu-hosting.de/FortbildungstelegrammPharmazie/impressum.html>