

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2025

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Zytostatika			
Belzutifan (Welireg®)	hemmt Hypoxie-induzierbaren Transkriptionsfaktor 2 alpha (HIF-2α) und reduziert die Wirkung als Expressionsfaktor bei O ₂ -Mangel, HIF-2α wird durch VHL-Protein abgebaut	fortgeschrittenes klarzelliges Nierenzellkarzinom, von Hippel-Lindau(VHL)-Syndrom assoziierte Tumore bei Erwachsenen	gering bis nicht belegt nicht belegt
Datopotamab Deruxtecán (Datroway®)	Trophoblast Zelloberflächen-Antigen 2 (TROP2) Antikörper konjugiert mit Deruxtecán, welches nach Endozytose den Topoisomerase I Hemmer Dxd freisetzt und Tumorzell-Apoptose bewirkt	inoperabler oder metastasierter Hormonrezeptor (HR)-positiver, HER2-negativer Brustkrebs	nicht belegt
Erdafitinib (Balversa®)	Tyrosinkinase-Inhibitor (TKI), hemmt Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptoren (FGFR), hemmt alle 4 Subtypen dieser Rezeptorfamilie	nicht resezierbares oder metastasiertes Urothelkarzinom bei mutiertem Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor-3	nicht belegt
Inavolisib (Itovebi®)	hemmt die p110α-Isoform der Phosphatidyl-inositol-4,5-Bisphosphat-3-Kinase (PI3K), bewirkt in Kombination mit Palbociclib und Fulvestrant eine verstärkte Inhibition des PI3K/AKT/mTOR-Signalwegs	Estrogenrezeptor (ER)-positiver, HER2-negativer, lokal fortgeschrittener oder metastasierter Brustkrebs mit PIK3CA-Mutation (mit Palbociclib und Fulvestrant)	nicht belegt (IQWiG)
Lazertinib (Lazcluze®)	Tyrosinkinase-Inhibitor (TKI), hemmt EGFR ("Epidermal Growth Factor Receptor") aktivierende Mutanten (19Del, 21 p.L858R) sowie die TKI-Resistenz Mutante T790M (ATP-Bindestelle)	in Kombination mit Amivantamab zur Behandlung des fortgeschrittenen nicht-kleinzelligen Lungenkarzinoms bei Erwachsenen	Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen
Linvoseltamab (Lynozytic®) 	bispezifischer Antikörper, bindet an T-Zell-Antigen CD3 (Cluster of Differentiation 3) und B-Zell-Reifungsantigen (BCMA), bewirkt zytotoxische T-Zell-Antwort mit B-Zell-Lyse	rezidiertes und refraktäres multiples Myelom nach 3-facher Vorbehandlung	nicht belegt (IQWiG)
Mirdametinib (Ezmekly®) 	Tyrosinkinase-Inhibitor (TKI), hemmt Mitogen-aktivierte Proteinkinasen 1 und 2 (MEK1/2) und damit den RAS-RAF-MEK Signalweg und das Überleben von Tumorzellen	symptomatische, inoperable plexiformen Neurofibrome bei Neurofibromatose Typ 1 ab einem Alter von 2 Jahren	noch nicht festgelegt
Nirogacestat (Ogsiveo®) 	hemmt Gamma-Sekretase, die den 2. Schritt der Notch-Proteolyse zur intrazellulären Domäne katalysiert und damit deren Aktivierung der Genexpression	fortschreitende Desmoid-Tumoren (Tumore an Muskelfaszien)	noch nicht festgelegt
Odronextamab (Odspono®) 	bispezifischer Antikörper, bindet an T-Zell-Antigen CD3 (Cluster of Differentiation 3) und B-Zell-Oberflächenantigen (CD20), bewirkt zytotoxische T-Zell-Antwort mit B-Zell-Lyse	rezidiertes oder refraktäres follikuläres Lymphom rezidiertes oder refraktäres diffus großzelliges B-Zell-Lymphom	nicht belegt
Repotrectinib (Augtyro®)	Tyrosinkinase-Inhibitor (TKI), hemmt ROS1, die Tropomyosin-Rezeptor-Tyrosinkinasen (TRK) TRKA, TRKB, TRKC und die anaplastische Lymphomkinase (ALK)	ROS1-(Proto-Onkogen-Tyrosin-Proteinkinase) positives nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom solide Tumoren mit Neurotrophe Tyrosin-Rezeptor Kinase-(NTRK) Genfusion	nicht belegt nicht belegt
Serplulimab (Hetronify®) 	Antikörper, bindet an PD-1-Rezeptor (programmiertes Zelltod-Protein 1), vermindert Bindung der Liganden PD-L1 und PD-L2 und verstärkt die T-Zell-Aktivität, auch gegen Tumorzellen	in Kombination mit Carboplatin und Etoposid bei fortgeschrittenem kleinzelligen Bronchialkarzinom bei Erwachsenen	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Tisotumab Vedotin (Tivdak®)	„Tissue-Factor“ (TF) Antikörper konjugiert mit Monomethylauristatin E, sowohl Tisotumab als auch das Konjugat bewirken toxische Effekte TF-expressierenden Tumor- und tumorumgebenden Zellen	rezidiertes oder metastasiertes Zervixkarzinom und Krankheitsprogression unter oder nach systemischer Vorbehandlung	nicht belegt
Vimseltinib (Romvimza®) 	Tyrosinkinase-Inhibitor (TKI), hemmt „Colony Stimulating Factor 1 Receptor“ durch Stabilisierung der inaktiven Konformation	symptomatische tenosynoviale Riesenzelltumoren bei fehlenden chirurgischen Optionen oder inakzeptabler Morbidität	noch nicht festgelegt
Vorasidenib (Vorango®) 	hemmt mutierte Isocitrat-Dehydrogenasen(IDH)-IDH1- und IDH2 und damit deren Überproduktion von onkogenem 2-Hydroxyglutarat (2-HG), welches u.a. über DNA-Hypermethylierung die Differenzierung der betroffenen Astrozyten oder Oligodendrozyten blockiert	Grad 2 Astrozytome oder Oligodendrogliome mit einer IDH1-R132-Mutation oder einer IDH2-R172-Mutation ab 12 Jahren	noch nicht festgelegt

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2025

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Seltene Erkrankungen (ohne Zytostatika)			
Acoramidis (Beyontra®) 	vermindert die Dissoziation des Transthyretin-(TTR) Tetramers in Monomere, die spontan zu Oligomeren aggregieren und u.a. im Herzen pathogene Amyloidfibrillen bilden	Wildtyp und hereditäre Transthyretin-Amyloidose (ATTR) bei erwachsenen Patienten mit Kardiomyopathie (ATTR-CM)	nicht belegt
Beremagen geperpavec (Vyjuvek®) 	Gentherapie, replikationsdefekte Herpes-Simplex-Viren 1 übertragen cDNA des COL7A1 Gens nach topischer Gabe episomal in Keratinozyten und Fibroblasten, die dann Kollagen Typ VII bilden	topische Wundbehandlung bei dystropher Epidermolysis bullosa mit Mutation(en) der α-1-Kette von Kollagen Typ VII (COL7A1)	noch nicht festgelegt
Concizumab (Alhemo®) 	wirkt unabhängig von FVIII und FIX als „Tissue Factor Pathway Inhibitor“ (TFPI)-Antikörper, erhöht FXa-Aktivität, Thrombinbildung und Hämostase	hereditäre Hämophilie A oder B mit oder ohne FIII- (A) oder FIX- (B) Hemmkörper	nicht belegt (A) beträchtlich (B, Anhaltspunkt)
Deutivacaftor/ Vanzacaftor/ Tezacaftor (Alyftrek®) 	Kombination der neuen Arzneistoffe Deutivacaftor und Vanzacaftor, erhöht Zelloberflächen-CTFR und Öffnungswahrscheinlichkeit (Aktivität) von CTFR und damit den Transport von Cl ⁻	zystische Fibrose ab 6 J. bei mindestens einer Nicht-Klasse-I-Mutation im Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (CTFR)-Gen	Verfahren eingestellt
Eplontersen (Wainzua®) 	Gentherapie, konjugiertes Antisense-Oligonukleotid (ASO), bindet an Transthyretin (TTR)-Messenger-RNA (mRNA) in Hepatozyten bewirkt deren Abbau und reduziert dadurch die Bildung von TTR	hereditäre Transthyretin-Amyloidose (ATTRv) bei Erwachsenen Patienten mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2	nicht belegt
Exagamglogen Autotemcel (Casgevvy®) 	Gentherapie, autologe, mit CD34 ⁺ -Zellen angereicherte hämatopoetische Stamm- und Vorläuferzellen, die nach G-CSF und Plerixafor Vorbehandlung gewonnen, durch CRISPR/Cas9-Technologie ex-vivo zur Bildung von fetalem Hämoglobin modifiziert und nach myeloablativer Konditionierung mit Busulfan infundiert werden	Transfusions-abhängige β-Thalassämie, schwere Sichelzellerkrankung mit rezidivierenden vasookklusiven Krisen	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Fosdenopterin (Nulibry®) 	Fosdenopterin (zyklisches Pyranopterinmonophosphat, cPMP) ersetzt die durch Mutation des MOCS1-Gens fehlende Vorstufe, die Enzyme in das Enedithiolat Molybdopterin konvertieren, das nach Komplexierung von Molybdän den fehlenden Cofaktor (MoCo bzw. MoC) bildet	Substratersatztherapie zur Behandlung von Patienten mit Molybdän-Cofaktor-Mangel (MoCD) Typ A	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Garadacimab (Andembry®) 	Antikörper, hemmt FXIIa und damit die Aktivierung von Präkallikrein zu Kallikrein und die Bildung von Bradykinin, wirkt im indirekten Vergleich besser als der Plasma-Kallikrein Inhibitor Berotralstat	Prophylaxe rezidivierender Attacken bei hereditärem Angioödem (HAE)	beträchtlich, Anhaltspunkt
Givinostat (Duvyzat®) 	Histon-Deacetylase I und II Hemmer, steigert die Expression von Proteinen wie Follistatin und Transkriptionsfaktoren der myogenen Differenzierung, fördert Myogenese und hemmt die Schädigung der Muskelfasern	Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Marstacimab (Hympavzi®) 	Antikörper gegen den „Tissue Factor Pathway Inhibitor“ (TFPI), erhöht FXa-Aktivität, Thrombinbildung und Hämostase	schwere Hämophilie A oder B ohne FIII- (A) oder FIX- (B) Hemmkörper	nicht belegt (A und B)
Olezarsen (Tryngolza®) 	Gentherapie, konjugiertes Antisense-Oligonukleotid (Gapmer, DNA, RNA-Analoga), bewirkt Abbau von Apolipoprotein C3 (ApoC-III) mRNA	familiäres Chylomikronämie-Syndrom bei Erwachsenen	noch nicht festgelegt
Sebetralstat (Ekterly®) 	hemmt kompetitiv und reversibel Plasmakallikrein und die Bildung von Bradykinin	akute Attacken bei hereditärem Angioödem (HAE) ab 12 Jahren	noch nicht festgelegt
Seladelpar (Lyvdelzi®) 	Agonist am PPARδ (Peroxisom-Proliferator-aktivierter Rezeptor delta), hemmt Herunterregulation von CYP7A1 und verringert Gallensäuresynthese	primäre biliäre Cholangitis in Kombination mit Ursodeoxycholsäure bei Erwachsenen	gering, Hinweis
Sepiapterin (Sephience®) 	Vorläufer des Kofaktors BH ₄ der Phenylalaninhydroxylase (PAH), wirkt als Chaperon (Sepiapterin und BH ₄) bei BH ₄ -unempfindlichen PAH-Varianten und senkt die Blutkonzentration von Phenylalanin	Hyperphenylalaninämie bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit Phenylketonurie	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
Tiratricol (Emcitate®) 	Tiratricol wirkt als Schilddrüsenhormon, erreicht über einen anderen Transporter (wahrscheinlich ABCD1-Pumpe) das Zytosol und die Kernrezeptoren, umgeht damit den MCT8-Mangel, ist ZNS-gängig, reduziert TSH, T4 und T3 und so die periphere Thyreotoxikose	periphere Thyreotoxikose bei Patienten mit Mangel an Monocarboxylat-Transporter 8 (Allan-Herndon-Dudley-Syndrom) ab der Geburt	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen

WAS GAB ES NEUES AUF DEM ARZNEIMITTELMARKT 2025

Arzneistoff	Mechanismus	Indikation	Zusatznutzen*
Antidementiva			
Donanemab (Kisunla®)	Antikörper mit hoher Affinität für die modifizierte N-terminal verkürzte Form des Beta-Amyloids (N3pE-Aβ), unterstützt Plaques-Entfernung durch Phagozytose über Mikroglia	leichte kognitive Störung, leichte Alzheimer-Demenz, ohne Apolipoprotein E-ε4 (ApoE-ε4)- oder ApoE-ε4-Nachweis, mit Amyloid-Pathologie	nicht belegt (IQWiG)
Lecanemab (Leqembi®)	Antikörper, gerichtet gegen aggregierte lösliche und unlösliche Formen von Amyloid-Beta	leichte kognitive Störung, leichte Alzheimer-Demenz, ohne Apolipoprotein E-ε4 (ApoE-ε4)- oder ApoE-ε4-Nachweis, mit Amyloid-Pathologie	nicht belegt (IQWiG)
Migränetherapeutika			
Atogepant (Aquipta®)	hemmt Calcitonin Gene-Related Peptide (CGRP) und Amylin-1-Rezeptoren, genauer Mechanismus bei Migräne nicht bekannt	Prophylaxe von Migräne bei Erwachsenen mit mindestens 4 Migränetagen	nicht belegt
Rimegepant (Vydura®)	hemmt Calcitonin Gene-Related Peptide (CGRP), genauer Mechanismus bei Migräne nicht bekannt	Akuttherapie bei Erwachsenen, Prophylaxe von Migräne bei Erwachsenen mit mindestens 4 Migränetagen	nicht belegt nicht belegt
Andere			
Nemolizumab (Nemlurio®)	Antikörper, bindet an Interleukin-31-Rezeptor alpha (IL-31-RA), hemmt IL-31-induzierte Reaktionen und vermindert Pruritus, Fibrose, und Entzündung	mittelschwere bis schwere atopische Dermatitis (ab 12 Jahre) mittelschwere bis schwere Prurigo nodularis (Erwachsene)	nicht belegt nicht belegt
Resmetirom (Rezdiffra®)	partieller Agonist des Schilddrüsenhormonrezeptors β (THR-β), wirkt im Gegensatz zu Schilddrüsenhormonen deutlich schwächer auf THR-α	Metabolische Dysfunktion-assoziierte Steatohepatitis (MASH)	nicht belegt (IQWiG)
Sipavibart (Kavigale®)	Antikörper gegen die Rezeptorbindungsdomäne des Spike-Proteins von SARS-CoV-2, passive Immunisierung	Präexpositionsprophylaxe einer Coronavirus-19-Erkrankung bei Immunschwäche ab 12 Jahren	nicht belegt
Tegomilfumarat (Riulvy®)	wichtigster aktiver Metabolit Monomethylfumarat be wirkt wahrscheinlich Aktivierung des Nuclear factor (erythroid-derived 2)-like 2 (Nrf2)	schubförmig remittierende multiple Sklerose ab 13 Jahren	noch nicht festgelegt

Autor: Prof. Dr. rer. nat. med. habil 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.g-ba.de (Bewertungen des IQWiG nicht bindend), Stand 15.02.2026. Bitte beachten Sie die Nutzungsbedingungen: <https://kojda-pharmalehrbuch.hhu-hosting.de/FortbildungstelegrammPharmazie/impressum.html>