

Wirkstoff	Markenname	Anwendungsgebiet	Hersteller	ATMP	Gentech	Orphan Drug	Kurzbeschreibung des Medikaments	Personal. Ansatz/m. CompDiagn.	EU-Zulassung erteilt	CHMP Status (Positive Opinion)	EU-Zulassungsantrag gestellt	Zulassung US u. a.	Sonstiges
Medikament zugelassen, aber noch nicht auf dem Markt													
Lenacapavir	Sunlenca [®]	HIV-1 Infektionen (zur Therapie im Rahmen von Kombinationen; zur Präexposition prophylaxe als Monopräparat)	Gilead Sciences	nein	nein	nein	NME; erster Vertreter der neuen Klasse der Kapsid-Inhibitoren, der sowohl das Zusammenfügen des Kapsids hemmt als auch die Rolle, die Kapsidproteine bei der RNA/DNA-Translokation in den Kern der infizierten Zelle spielen. Anwendung zur Präexposition prophylaxe einmal pro Halbjahr.	nein	17. Aug 22	24. Jun 22	Aug 21		
Relatlimab/Nivolumab	Opdualag [®]	Melanom	Bristol Myers Squibb	nein	ja	nein	Kombination aus einem neuen (Relatlimab; NME) und einem bekannten Wirkstoff; beide sind gentechnisch hergestellte Antikörper; beide Wirkstoffe sind Immunchekpoint-Inhibitoren, wobei Relatlimab gegen das Lymphocyte Activation Gen 3 (LAG-3), Nivolumab gegen PD-1 gerichtet ist - personalisierter Ansatz; für Kinder ab 12 Jahren und 40 kg Mindestgewicht	nein	15. Sep 22	22. Jul 22	Sep 21	Zulassungsantrag in den USA im September 2021 gestellt	
Mitapivat	Pyrukynd [®]	Pyruvat-Kinase-Mangel	Agios Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; Pyruvat-Kinase-Stimulans, das insbesondere die Pyruvat-Kinase der roten Blutkörperchen aktiviert und deren ATP-Synthese aufrechterhält	nein	09. Nov 22	16. Sep 22	Jun 21	Zulassungsantrag in den USA Ende Juni 2021 gestellt	
COVID-19-Vakzine	Bimervax [®]	Impfstoff gegen COVID-19	HIPRA Human Health S.L.U.	nein	ja	nein	NME: Wirkstoff enthält zwei Varianten (α - und β -Variante) des Spike-Proteins von SARS-CoV-2 als Antigen	nein	30.03.2023	31.03.2023	29.03.2022 (Rolling Review)		
Piflufolostat (18F)	Pylclari [®]	Prostatakarzinom (Diagnose)	Curium	nein	nein	nein	NME; Diagnose eines Prostatakarzinoms mittels PET sowohl beim primären Staging von Hochrisiko-Patienten als auch bei Verdacht auf ein Rezidiv	nein	24.07.2023	26.05.2023	14. Jul 22	Zulassung in den USA im Mai 2021	
Ganaxolon	Ztalmly [®]	Mit Anfällen assoziierte CDKL5-Mangel-Störungen	Marinus Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; GABAA-Rezeptor-Modulator, der sowohl auf synaptische als auch auf extrasynaptische GABAA-Rezeptoren wirkt; die Erkrankung ist derzeit nicht behandelbar	nein	26.07.2023	26.05.2023	Okt 21	Zulassungsantrag in den USA im August 2021 gestellt	beschleunigtes Verfahren
Gefapixant	Lyfnua [®]	Chronischer Husten	MSD	nein	nein	nein	NME; P2X3-Antagonist	nein	15.09.2023	21.07.2023	Feb 21	US-Zulassungsantrag im März 2021 gestellt	
Adagrasib	Krazati [®]	nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)	Mirati Therapeutics	nein	nein	nein	NME; Antagonist des KRAS-Onkoproteins mit G12C-Punktmutation	ja: Nachweis der KRAS ^{G12C} -Mutation	05.01.2024	10.11.2023	Mai 22	FDA-Zulassungsantrag im Februar 2022	positives Vorum am 10.11.2023 (für konditionelle Zulassung) nach zunächst "negative opinion" am 21.7.2023, Antrag des Herstellers auf Reevaluierung am 27.7.2023
Retifanlimab	Zynyz [™]	Merkelzellkarzinom	Incyte	nein	ja	ja	NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper gegen das PD-1-Immunchekpoint-Molekül	nein	19.04.2024	23.02.2024	23.03.2023		
Aprocintan	Jeraygo [®]	Hypertonie	Idorsia	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein dualer Endothelin-Rezeptor-Antagonist, der durch eine Blockade des Rezeptors eine resistente Hypertonie kontrollieren soll.	nein	27.06.2024	26.04.2024	23.02.2023		
Dasiglucagon	Zegalogue [®]	Schwere Hypoglykämie	Zealand Pharma A/S	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff erhöht die Blutglukose-Konzentration durch Aktivierung des hepatischen Glukagon-Rezeptors, wobei der Abbau von Glykogen und die Ausschüttung von Glukose aus der Leber stimuliert wird.	nein	24.07.2024	31.05.2024	13.07.2023	FDA-Zulassung am 22.3.2021	
Sugemalimab	Cejemly [®]	nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)	CStone/EQRx	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein humaner, Anti-PD-L1-IgG4-Antikörper mit potentiell geringerer Immunogenität und Toxizität im Vergleich zu anderen Antikörpern dieser Art.	nein	24.07.2024	31.05.2024	23.02.2023		
Flortaucipir (18F)	Tauvid [™]	Alzheimer-Krankheit	Lilly	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist eine radioaktiv markierte diagnostische Substanz, die bei Erwachsenen mit kognitiver Einschränkung und Verdacht auf eine Alzheimer-Demenz in der Positronenemissions-Tomographie die Dichte und Verteilung aggregierter Tau-Filamente im Gehirn darstellen soll.	nein	22.08.2024	28.06.2024	23.03.2023		
Toripalimab	Loqtorz [®]	Nasopharynx-Karzinom	Junshi Biosciences	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper, der PD-1 bindet und dadurch die Aktivierung von T-Lymphozyten gegen Tumorzellen fördert	nein	19.09.2024	26.07.2024	01.12.2022	US-Zulassung am 27.10.2023	
Lutetium (177Lu) chloride	Illuzyce / Theralugand [®]	Maligne Tumorerkrankungen	Billiv Pharma ApS	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein Radiopharmazeutikum, das nicht direkt an Patient:innen eingesetzt, sondern an Moleküle gekoppelt werden kann, die an Tumorzellen binden und dadurch die Strahlung des Radiopharmazeutikums auf diese Zellen fokussieren.	nein	22.11.2024	20.09.2024	17.08.2023		
Vilobelimab	Gohibic [®]	Atemnotsyndrom bei Covid-19 (Therapie)	InflaRx	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper, der den Komplementfaktor 5a bindet und dessen Wirkung an seinem Rezeptor verhindert. Dadurch wird die angeborene Immunreaktion blockiert, die normalerweise eine Entzündungskaskade auslöst, ferner die Blutgerinnung, die Freisetzung proinflammatorischer Zytokine und die Rekrutierung bzw. Aktivierung neutrophiler Granulozyten und anderer myeloischer Zellen.	ja (Innerhalb 48 Stunden nach Beginn der maschinelle Beatmung bzw. einer ECMO)	15.01.2025	15.11.2024	17.08.2023	FDA-Notfallzulassung 2023	
Zapomeran	Kostaive [®]	Covid-19 (Schutzimpfung)	Seqirus	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist eine selbstamplifizierende mRNA (sa-mRNA). Selbstamplifizierend bedeutet, dass in den Zellen nach der Injektion zusätzliche mRNA-Kopien für die Produktion des Spike-Protein-Antigens erstellt werden, sodass weniger Impfstoff benötigt wird. Die mRNA-Selbstamplifikation ist vorübergehend und erzeugt keine infektiösen Partikel.	nein	12.02.2025	12.12.2024	17.08.2023		
Imetelstat	Rytelo [®]	Myelodysplastisches Syndrom	Geron	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor der Telomerase, die in Krebszellen vermehrt vorkommt und ihnen hilft, sich schnell zu teilen und zu vermehren.	nein	07.03.2025	13.12.2024	28.09.2023		
Teprotumumab	Tepezza [®]	Morbus Basedow	Horizon Therapeutics	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein Antikörper gegen den Rezeptor für Insulin-like Growth Factor 1 (IGF-I), der gegen die endokrine Orbitopathie beim Morbus Basedow wirken soll.	nein	19.06.2025	25.04.2025	23.05.2024		

Zanidatamab	Zihera®	HER2+ Gallengangskarzinom	Jazz Pharmaceuticals	nein	ja	ja	NME; Wirkstoff ist ein bispezifischer Antikörper, der zwei nicht überlappende Epitope des HER2-Antigens auf Tumorzellen erkennt und dadurch eine doppelte Blockade dieses Wachstumsfaktor-Rezeptors, seine Entfernung von der Zelloberfläche und eine immunvermittelte Zytotoxizität gegen die Tumorzellen bewirkt.	ja (Nachweis der HER2-Überamplifikation)	27.06.2025	25.04.2025	20.06.2024		
Obecabtagene autoleucel	Aucatzyl®	B-Zell Akute lymphoblastische Leukämie (B-ALL), relapsiert oder therapierefraktär	Autolus	ja	nein	ja	NME; Gegen CD19 gerichtetes CAR-T-Zell-Therapeutikum zur Behandlung der B-Zell Akute lymphoblastische Leukämie bei Erwachsenen.	nein	17.07.2025	23.05.2025	02.04.2022		Orphan-Status 13.4.2022
Belantamab mafodotin	Blenrep®	Multiples Myelom	GSK	nein	ja	ja	bekannter Wirkstoff; Wirkstoff ist ein Chemoimmunkonjugat aus einem monoklonalen Antikörper gegen das BCMA-Antigen auf Myelomzellen, der an das potente Spindelgift Monomethylauristatin F gekoppelt ist.	nein	23.07.2025	23.05.2025	18.07.2024 neu eingereicht (nach Entzug der Zulassung von 2020)		
16 Aminosäuren (L-Alanin, L-Arginin, L-Asparaginsäure L-Cystein-Hydrochlorid-Monohydrat, L-Glutaminsäure, Glycin, L-Histidin, L-Lysin-Monohydrat, L-Methionin, L-Phenylalanin, L-Prolin, L-Serin, Taurin, L-Threonin, L-Tryptophan, L-Tyrosin)	Maapliv	Ahornsirupkrankheit	Recordati	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist eine Lösung aus verzweigtkettingen Aminosäuren (BCAA-frei); bei Gabe mit Kohlenhydraten und Lipiden wird der Proteinkatabolismus verhindert oder umgekehrt und der Anabolismus gefördert; dies reduziert die krankheitsbestimmenden hohen Leucin-Spiegel. für Kinder ab Geburt und für Erwachsene		28.07.2025	22.05.2025	28.09.2023		
Clascoterone	Winlevi®	Akne	COSMO Pharmaceuticals/ InfectoPharm	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist der erste topische Androgenrezeptor-Hemmer seiner Klasse, der die Androgen-Hormon-Komponente der Akne bekämpft und topisch angewendet wird.		17.10.2025	18.09.2025	26.10.2023	FDA-Zulassung im November 2021	
Elinzanetant	Lynkuet®	Menopause-Symptome	Bayer	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein dualer Neurokinin-1,3(NK-1,3)-Rezeptor-Antagonist. Er moduliert eine Gruppe von Estrogen-sensitiven Neuronen im Hypothalamus, die bei Estrogen-Mangel hypertrophieren und thermoregulatorische Signalwege aktivieren und so zu den vasomotorischen Symptomen während der Menopause führen können.	nein	17.11.2025	18.09.2025	31.10.2024		
Brenscatib	Brinsupri®	Bronchiektasien, nicht durch zystische Fibrose bedingt	Insmed	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff hemmt die Dipeptidylpeptidase I (DPP1), die für die Aktivierung der neutrophilen Elastase benötigt wird. Dadurch wird der Umfang entzündlicher Veränderungen des Lungengewebes reduziert, die durch neutrophile Granulozyten mitverursacht und ein Pathomechanismus von Bronchiektasien sind. Für Jugendliche ab 12 Jahren	nein	18.11.2025	16.10.2025	24.04.2025		
Nipocalimab	Imaavy®	Myasthenia gravis	Janssen	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper, der mit hoher Affinität an den neonatalen Fc-Rezeptor (FcRn) bindet. Dadurch werden die Konzentrationen zirkulierender Immunglobulin-G-Antikörper (IgG) gesenkt, während die Immunfunktion weitgehend erhalten bleibt. Resultat ist eine deutlich verkürzte Halbwertszeit von IgG-Antikörpern, die für Autoimmunerkrankungen wie die Myasthenia gravis verantwortlich sind.	nein	28.11.2025	18.09.2025	03.10.2024		
Sargramostim	Imreplis®	Stimulation der Hämatopoese	Sanofi	nein	ja	nein	Wirkstoff ist ein modifizierter humaner rekombinanter Granulozyten-Makrophagen-Koloniestimulierender Faktor (GM-CSF), der in Hefezellen hergestellt wird und zur Stimulation der Hämatopoese etwa nach myelosuppressiven Therapien oder nach einer Knochenmarktransplantation eingesetzt wird.	nein	21. Aug 25	20. Jun 25	Apr 24	FDA-Zulassung 1991	
Dorocubicel	Zemcelpro™	Allogene Stammzelltransplantation	ExCellThera Inc.	ja	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein Produkt aus Zellen von Nabelschnurblut, das Engraftment und Rekonstitution des Immunsystems bei allogener Stammzelltransplantation beschleunigen soll.	nein	25. Aug 25	19. Jun 25	Jun 24		
Zuranolon	ZURZUVAE®	Postpartale Depression	Deciphera	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein neuroaktives Steroid, das als positiver allosterischer Modulator des GABA-A-Rezeptors fungiert. Er moduliert die synaptische ebenso wie die extrasynaptische GABA-A-Aktivität, indem er an eine Nicht-Benzodiazepin-bindende Stelle auf dem Rezeptor bindet. Durch Hochregulierung der GABA-A-Rezeptor-Expression und Verstärkung des inhibitorischen GABAergen Signals kann er rasch die exzitatorisch-inhibitorische Balance in zerebralen Netzwerken wiederherstellen und aufrecht erhalten.	nein	17. Sep 25	24. Jul 25	Aug 24		
EU-Zulassung beantragt; „Positive Opinion“ vom CHMP erteilt													
Deutetrabenazin	Austedo®	Tardive Dyskinesie, Chorea Huntington	TEVA	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor des vesikulären Monoamintransporters 2, der die Aufnahme von Transmittoren wie Dopamin, Serotonin, Norepinephrin oder Histamin blockiert und bei tardiver Dyskinesie und Chorea-Symptomatik der Huntington-Krankheit wirksam ist.	nein		20.06.2025	28.03.2024	FDA-Zulassung 2017	
Clesrovimab	Enflonsia®	Infektionen mit Respiratory Syncytial Virus (RSV)	MSD	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper gegen RSV mit verlängerter Halbwertszeit, der bei gesunden Kindern als passive Immunisierung eines RSV-Infektes verhindern soll.	nein		18.09.2025	28.11.2024		
Rilzabrutinib	Wayrizl®	Immun-vermittelte Erkrankungen (z.B. ITP, Asthma)	Sanofi	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oraler, reversibler, kovalent bindender BTK-Inhibitor, der zur Behandlung schwerer immun-vermittelter Krankheiten eingesetzt werden soll. BTK (Bruton-Tyrosinkinase) wird in B-Zellen und Mastzellen exprimiert und spielt eine kritische Rolle bei verschiedenen immun-vermittelten Krankheitsprozessen.	nein		16.10.2025	31.10.2024		

Acellular pertussis vaccine	Vacpertagen®	Keuchhusten	BioNet Europe	nein	nein	nein	NME; Für Kinder ab 12 Jahren und für Neugeborene über Impfung der Mutter während der Schwangerschaft	nein		13.11.2025	18.07.2024			
Donidalorsen	Dawuzera®	hereditäres Angioödem (Prävention)	Otsuka	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein gegen RNA gerichtetes, an einen Liganden konjugiertes Antisense-(LICA)Molekül, das die Expression von Präkallikrein (PKK) hemmen soll. PKK spielt eine wichtige Rolle bei der Aktivierung inflammatorischer Mediatoren, die mit akuten Anfällen des hereditären Angioödems assoziiert sind.	nein		13.11.2025	27.12.2024		https://www.monitor-versorgungsforschung.de/news/otsuka-beantragt-marktzulassung-fuer-donidalorsen-dawuzera-zur-behandlung-des-hereditaeren-angiooedems/?cookie-state-change=176554637063	
Etudevigen Autotemcel	Waskyra®	Wiskott-Aldrich-Syndrom	Boston Children's Hospital	ja	ja	ja	NME; Wirkstoff besteht aus autologen CD34-positiven hämatopoetischen Stammzellen, denen das Gen für ds Wiskott-Aldrich-Syndrom-Protein implantiert wurde. Dieses ist für die Funktion von Immunzellen essentiell. Für Kinder ab 6 Monaten	ja (autologe Zellen)		13.11.2025	24.12.2024			
Germanium (68Ge) Chlorid / Gallium (68Ga) Chlorid	Galenvita®	Radiopharmazeutikum	Curium	nein	nein	nein	Wirkstoff ist ein Radionuklid, das zur radioaktiven Markierung anderer Substanzen bei der Positronenemissions-Tomographie benutzt wird.	nein		13.11.2025	27.12.2024			
Imlunestrant	Inluriyo®	ER+ HER2- fortgeschrittenes Mammakarzinom mit ESR1-Mutation	Lilly	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein ZNS-gängiges, orales selektives Estrogenrezeptor-degradierendes Molekül (SERD), das den ER kontinuierlich hemmt, auch in ESR1-mutierten Tumoren.	ja (ESR1-Mutation; ER+, HER2-)		13.11.2025	27.12.2024			
Teplizumab	Teizeid®	Typ-1-Diabetes	Sanofi Aventis	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein rekombinanter Anti-CD3-Antikörper, der durch die Hemmung von T-Lymphozyten die Autoimmunreaktion gegen Betazellen des Pankreas unterbinden soll, die der Pathogenese des Typ-1-Diabetes zugrunde liegt. Erster Wirkstoff einer neuen Wirkstoffklasse Für Kinder ab 8 Jahren	nein		13.11.2025	23.01.2025	FDA-Zulassung im November 2022		
Aumolertinib	Aumseqa	Nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)	SFL Pharmaceuticals Germany (ist aber nicht das entwickelnde Unternehmen)	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein Inhibitor des EGF-Rezeptor mit aktivierenden Mutationen; die Zulassung wurde empfohlen für: - the first-line treatment of adult patients with advanced non-small cell lung cancer (NSCLC) whose tumours have EGFR exon 19 deletions or exon 21 (L858R) substitution mutations. - the treatment of adult patients with advanced EGFR T790M mutation-positive NSCLC	ja		11.12.2025	01.12.2022		https://www.ema.europa.eu/en/documents/summary-initial/chmp-summary-positive-opinion-aumseqa_en.pdf	
Aficamten	Myqorzo	Hypertrophe Kardiomyopathie	Cytokinetics	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein oraler, niedermolekularer Inhibitor des kardialen Myosins, der die Hyperkontraktilität reduzieren soll, die mit der hypertrophen Kardiomyopathie assoziiert ist.	nein		11.12.2025	27.12.2024			
Depemokimab	Exdensur	eosinphiles Asthma bronchiale	GSK	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist der erste ultralang wirksame monoklonale Anti-IL-5 Antikörper, der, zweimal jährlich gegeben, die Exazerbationsraten von Patient:innen mit schwerem eosinophilem Asthma bronchiale signifikant reduziert.	nein		11.12.2025	23.01.2025			
Nogapendekin alfa inbaki	Anktiva®	BCG-resistentes nicht muskelinvasives Blasenkarzinom	Altor Bioscience	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein rekombinanter Proteinkomplex, der eine Variante des humanen Interleukin-15 (IL-15) und einen IL15-Rezeptor-Agonisten enthält. Eine Lösung davon und Bacillus Calmette-Guerin (BCG) wird mit einem Katheter in die Blase eingefüllt. Ziel ist, das Ansprechen von Blasenkarzinomen, die gegen BCG als Monotherapie resistent sind, zu verbessern.	ja (fehlendes BCG-Ansprechend)		11.12.2025	23.01.2025	FDA-Zulassung im April 2024		
Covid-19-mRNA-Impfstoff	mNEXSPIKE	Covid-19 (Prophylaxe)	Moderna	nein	nein	nein	NME; die mRNA kodiert für ein Spike-Fragment (anders als der erste Covid-19-Impfstoff von Moderna); die neue Formulierung erlaubt Lagerung bei höheren Temperaturen	nein		11.12.2025	27.12.2024 (Start of evaluation)	von der FDA zugelassen	https://feeds.issuereirect.com/news-release.html?newsid=5758345706655596&symbol=MRNA	
EU-Zulassung beantragt; noch keine „Positive Opinion“														
Doxecitin/Doxribitmin	N.N.	Thyminid-Kinase-2(TK2)-Defizienz	UCB	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist eine 1:1-Kombination aus zwei Nukleosid-Substraten, die bei Patient:innen mit TK2-Defizienz durch die verbleibende Aktivität der TK2 oder andere zelluläre Enzyme in Nukleosid-Monophosphate konvertiert werden. Dadurch wird der bestehende Mangel kompensiert und so die DNA-Synthese und weitere Funktionen in den Mitochondrien verbessert.	ja (Nachweis einer TK2-Defizienz)			28.11.2024			
Nadofaragene Firadenovec (rAd-IFN/Syn3)	Adstiladrin®	Blasenkarzinom	Ferring Pharmaceuticals	ja	ja	nein	NME; Wirkstoff ist eine Gentherapie zur Behandlung des nicht auf BCG ansprechenden, nicht-muskelinvasivem Blasenkarzinoms (NMIBC). Über ein replikationsdefizientes rekombinantes Adenovirus, das gemeinsam mit Syn3 administriert wird, wird das humane IFNα-2b-Gen in das Urothel eingebracht, wodurch in der Blase ein konstant hoher Spiegel von IFNα erzielt wird, das über TRAIL (Tumor Nekrose faktor abhängiger, Apoptose induzierender Ligand) zum Zelltod führt.	ja (BCG-resistentes NMIBC)			24.12.2024	US-Zulassung Dez. 2022		
Blarcomesine	Blarcomesine Anavex	Alzheimer-Krankheit	Anavex Life Sciences Corp.	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein Agonist des Sigma-σ1-Rezeptors, des muskarinischen Acetylcholin-M1-Rezeptors, und des ionotropen Glutamat-NMDA-Rezeptors. Vor allem der Sigma-σ1-Rezeptor ist an Prozessen beteiligt, die für das Langzeitgedächtnis verantwortlich sind.	nein		Negative Opinion am 11.12.2025	27.12.2024			
Iloperidon	Fanapt®	Schizophrenie, Bipolar-I-Störungen	Mylan	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist Iloperidone ist atypisches Neuroleptikum, das die Balance von Dopamin und Serotonin im Gehirn wiederherstellen soll.	nein			27.12.2024			
Mavorixafor	Xolremdi®	WHIM-Syndrom	X4 Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein Antagonist des Chemokin-Rezeptors CXCR4, der an zahlreichen Prozessen, darunter der Hämatopoese, beteiligt ist. Funktionsstörungen von CXCR4 sind an der Pathogenese des WHIM-Syndroms (Warzen, Hypogammaglobulinemie, Infektionen, Myelokathexis)beteiligt.	nein			23.01.2025	FDA-Zulassung im April 2024		

Trofnetide	Daybue™	Rett-Syndrom	Acadia Pharmaceuticals	nein	ja	ja	NME; Wirkstoff ist ein synthetisches Analogon von Insulin-like Growth Factors-1 (IGF1), dessen Wirkmechanismus noch nicht völlig verstanden wird. Unter anderem hilft es, Neuroinflammation zu unterdrücken, wodurch Nervenzellen vor Schäden bewahrt werden, wie sie beim Rett-Syndrom auftreten können.	nein				23.01.2025	FDA-Zulassung für Kinder mit Rett-Syndrom 2023	
Grippe- und Covid-19-mRNA-Impfstoff (vormals mRNA-1083)	N.N.	saisonale Grippe und Covid-19 (Prophylaxe)	Moderna	nein	nein	nein	NME; enthält die Messenger-RNA für 4 Influenzaantigene und das Spikeprotein von SARS-CoV-2	nein				23.01.2025 (Start der Evaluation)		https://www.aerzteblatt.de/news/kombinierter-impfstoff-gegen-grippe-und-sars-cov-2-erzielt-ausreichende-antikörperantwort-9eab062c-774b-4007-9f7a-8f11ba96575c
Tolebrutinib	N.N.	Multiple Sklerose	Sanofi Aventis	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein oraler, ZNS-gängiger, irreversibler Inhibitor der Bruton-Tyrosinkinase, die in B-Lymphozyten und myeloiden Zellen einschließlich der Microglia exprimiert wird, die wichtige Treiber der Entzündung bei der Multiplen Sklerose sind.	nein				20.02.2025	Breakthrough Therapy Designation durch FDA im Dezember 2024	
Plozasiran	N.N.	Familiäres Chylomicronämie-Syndrom (FCS)	Arrowhead Pharmaceuticals	ja	nein	ja	NME; Wirkstoff hemmt über RNA-Interferenz die Expression der Proprotein-Konvertase Subtilisin/Kexin Typ 9 (PCSK9). Diese spielt eine Schlüsselrolle bei der Regulierung des LDL-Rezeptors auf der Oberfläche von Leberzellen, der für die Entfernung von LDL-Cholesterin aus der Zirkulation verantwortlich ist.	nein				20.03.2025		
Paltusotine	N.N.	Akromegalie	Crinetics Pharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oraler, selektiver Agonist des Typ-II-Rezeptors für Somatostatin, der zur Behandlung der Akromegalie entwickelt wird.	nein				27.03.2025	beschleunigte Zulassung durch die FDA am 16.02.2024	
Apitegromab	N.N.	Spinale Muskelatrophie (SMA)	Scholar Rock	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein humaner monoklonaler IgG4-Antikörper, der die Aktivierung von Myostatin hemmt, eines Signalmoleküls aus der TGFβ-Superfamilie, das eine negative Regulierung von Wachstum und Kraft von Skelettmuskeln bewirkt.	nein				27.03.2025		
Remibrutinib	N.N.	Chronische spontane Urtikaria	Novartis	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein hochgradig selektiver, oraler Inhibitor der Bruton-Tyrosinkinase (BTK), der den BTK-Signalweg blockiert und die Ausschüttung von Histamin verhindert.	nein				27.03.2025		
Tovorafenib	Ojemda®	Niedrig-maligne Gliome	Day One Biopharmaceuticals	nein	nein	ja	NME; Wirkstoff ist ein oraler, selektiver, ZNS-gängiger Typ-II-Inhibitor der RAF-Kinase, der zur Behandlung BRAF-mutierter, rezidivierender oder refraktärer pädiatrischer niedrigmaligner Gliome entwickelt wird.	ja (Nachweis einer BRAF-Mutation)				27.03.2025	beschleunigte Zulassung durch die FDA am 23.4.2024	
Diazoxide choline	Vykat®	Prader-Willi-Syndrom	Soleno Therapeutics	nein	nein	ja	Wirkstoff ist ein Kaliumkanal-Öffner, der u.a. die Insulin-Sekretion in Pankreaszellen unterbindet und dadurch einer Hypoglykämie vorbeugt. Es eignet sich deshalb zur Behandlung der Hyperphagie beim Prader-Willi-Syndrom.	nein				22.05.2025	FDA-Zulassung im März 2025	
Lerodalcibep	N.N.	Hyperlipidämie	LIB Therapeutics	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff (ein Fusionsprotein) ist ein Inhibitor der Serinprotease PCSK9, die den Abbau von LDL-Rezeptoren in der Leber hemmt und so den LDL-Cholesterin-Spiegel im Blut erhöht.	nein				22.05.2025		
Nerandomilast	N.N.	Idiopathische und progrediente Lungenfibrose	Boehringer Ingelheim	nein	nein	nein	NME; Wirkstoff ist ein oraler, präferenzialer Inhibitor der Phosphodiesterase 4B (PDE4B) mit antifibrotischen und immunmodulatorischen Eigenschaften, der als potenzielle Behandlung für idiopathische Lungenfibrose (IPF) und progrediente Lungenfibrose (PPF) untersucht wird.	nein				22.05.2025		
Sasanlimab	N.N.	Blasenkarzinom	Pfizer	nein	ja	nein	NME; Wirkstoff ist ein Antikörper, der das PD-1-Immunchekpoint-Molekül hemmt und dadurch die Aggressivität von zytotoxischen T-Lymphozyten gegenüber Krebszellen erhöht.	nein				22.05.2025		
Allogene fäkale Mikrobiota	N.N.	Akute Graft-versus-Host-Erkrankung	??	nein		ja	NME;	nein				19.06.2025		
Camizestrant	N.N.	Brustkrebs, lokal fortgeschritten oder metastasiert	AstraZeneca	nein	nein	nein	NME; ein selektiver Estrogenrezeptor-Degrader (SERD)	nein				19.06.2025		
Glepaglutid	N.N.	Kurzdarmsyndrom	Zealand Pharma	nein	nein	nein	NME; ein lang-wirksames Analogon des Glucagon-like Peptide-2.	nein				19.06.2025		
Linerixibat	N.N.	Juckreiz bei primärer biliärer Cholangitis	GSK	nein	nein	ja	NME; ein IBAT-Inhibitor. Er senkt die Rückresorption von Gallensäuren im Darm und senkt dadurch deren Konzentration im Blut.	nein				19.06.2025		
Lurbinectedin	Zepzelca	Kleinzelliger Lungenkrebs (SCLC)	Pharma Mar	nein	nein	ja	NME; ein Chemotherapeutikum vom Typ Alkylans; Einsatz als Erhaltungstherapie. Der Wirkstoff wird semisynthetisch hergestellt.	nein				19.06.2025		https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/o2774.htm ; https://aacrjournals.org/mct/article/15/10/2399/92096/Lurbinectedin-Specifically-Triggers-the
Catequentinib	N.N.	Synoviale Sarkome, Leiomyosarkome	Advenchen Laboratories	nein	nein	nein	NME; ein Tyrosinkinase-Inhibitor	nein				17.07.2025		
Ensitrelvir	N.N.	Covid-19; Behandlung	Shionogi	nein	nein	nein	NME; zur antiviralen Behandlung einer Covid-19-Infektion	nein				17.07.2025		
Leriglitazon	N.N.	Adrenoleukodystrophie, X-chromosomale	Neuraxpharm	nein	nein	nein	NME; ein PPAR-gamma-Agonist. Wurde entwickelt von Minoryx Therapeutics.	nein				17.07.2025		
Narsoplimab	N.N.	Thrombotische Mikroangiopathie, Stammzelltransplantations-assoziiert	Omeros	nein	ja	ja	NME; monoklonaler Antikörper	nein				17.07.2025		

Ensartinib	N.N.	nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom (NSCLC)	Betta Pharmaceuticals	nein	nein	nein	NME; Einsatz bei ALK-positiven Tumoren	ja (Nachweis einer ALK-Mutation)			27.11.2025		
Etripamil	N.N.	Paroxysmale supraventrikuläre Tachykardien	Milestone Pharmaceuticals	nein	nein		NME; Wirkstoff bewirkt eine schnelle Konversion von paroxysmalen supraventrikulären Tachykardie-Episoden zum Sinus-Rhythmus Ist ein Kalziumkanal-Blocker. Wird als Nasenspray verabreicht.	nein			27.11.2025		
Pimicotinib	N.N.	Tenosynoviale Riesenzellumore	Abbisko / MSD	nein	nein	ja	NME; für Jugendliche ab 12 Jahren und für Erwachsene	nein			27.11.2025		
Zopapogen Imadenovec	Papzimeos	Respiratorische Papillomatose	Precigen	ja	ja	ja	NME; Wirkstoff ist gleichzeitig Gen- und Immuntherapie: Vektor ist ein nicht-vermehrungsfähiges Gorilla-Adenovirus, das Antigen-präsentierende Zellen infiziert und dort Kopien für die Produktion von Antigenen der beiden HPV-Typen 6 und 11 ablegt. 4 subkutane Injektionen über einen Zeitraum von 12 Wochen die Erkrankung ist bedingt durch Infektion mit den HPV-Typen 6 und 11 in utero, während der Geburt oder im späteren Lebensalter; Wirkstoff erzeugt eine T-Zell-Antwort, die die Papillomzellen (infizierte Epithelzellen) beseitigen	nein			27.11.2025	FDA-Zulassung am 14.08.2025	