**2018 in Deutschland neu eingeführte Medikamente mit neuem Wirkstoff**

**Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen: 36** *(Stand 11.12.2018)*

vfa. Die forschenden Pharma-Unternehmen

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/ Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Abemaciclib | Verzenios | Lilly | Brustkrebs, lokal fortgeschritten oder metastasiert, Hormonrezeptor-positiv, HER2-negativ | 11 2018 | ▪ Filmtabletten<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein CDK4/6 (Cyclin-dependent Kinase)-Inhibitor zur Behandlung postmenopausaler Frauen mit fortgeschrittenem oder metastasiertem Brustkrebs, der HR+ und HER2- ist, also **personalisierter Ansatz** |
| allogene, genetisch modifizierte T-Zellen | Zalmoxis | MolMed | Begleitbehandlung bei Stammzelltransplantation bei Hochrisiko-Leukämie | 1 2018 | ▪ Infusionsdispersion<br>▪ Wirkstoff ist ein Gen/Zelltherapieprodukt<br>▪ ergänzende Gentherapie bei hämatopoetischer Stammzelltransplantation für Patienten mit Hochrisiko-Leukämie<br>▪ Wirkstoff besteht aus gentechnisch veränderten T-Zellen, die das Herpes simplex Virus Thymidin Kinase (HSV-TK) “Selbstmord-Gen” exprimieren und sich selbst zerstören, nachdem sie den Wiederaufbau des Immunsystems der Patienten unterstützt und beschleunigt haben<br>▪ so kann während der Stammzelltransplantation auf Immunsuppressiva verzichtet werden; dies ermöglicht auch Spenden von immunologisch nicht ganz so gut passenden Spendern<br>▪ **Orphan Drug** |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat / Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Axicabtagen ciloleucel | Yescarta | Gilead | B-Zell-Lymphom (DLBCL und PMBCL) | 11 2018 | ▪ Infusionsdispersion<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff besteht aus T-Zellen des Patienten **(individuelle Therapie)**, die nach gentechnischem Eingriff einen chimären Antigen-Rezeptor exprimieren, um an CD19-tragende Zellen (B-Zellen) zu binden und sie zu zerstören. Diese werden im Labor vermehrt und dem Patienten infundiert.<br>▪ **Orphan-Drug** |
| Benralizumab | Fasenra | AstraZeneca | Asthma, schweres eosinophiles | 2 2018 | ▪ Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper, der gegen die IL-5 Rezeptor-alpha-Kette gerichtet ist |
| Bezlotoxumab | Zinplava | MSD | *Clostridium difficile*-Infektionen (Prävention) | 4 2018 | ▪ Infusionslösungskonzentrat<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein Antikörper und bindet an das Toxin B des *Clostridium difficile* und neutralisiert dessen Aktivität<br>▪ Zur Vorbeugung bei Patienten mit hohem Infektionsrisiko |
| Bictegravir / Emtricitabin / Tenofovir alafenamid | Biktarvy | Gilead | HIV 1-Infektion | 7 2018 | ▪ Filmtabletten<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Kombination aus einem neuen (Bictegravir) und zwei bekannten Wirkstoffen<br>▪ Bictegravir ist ein Integrase-Inhibitor |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Binimetinib | Mektovi | Pierre Fabre | Melanom, nicht-resezierbar oder metastasiert, mit BRAF-V600-Mutation | 10 2018 | ▪ Filmtabletten<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein MEK1- und MEK2-Inhibitor, der zur Behandlung in Kombination mit Encorafenib zugelassen ist<br>▪ **personalisierter Ansatz** |
| Burosumab | Crysvita | Kyowa Kirin | Hypophosphatämie, X-chromosomal mit röntgenologisch nachgewiesener Knochenerkrankung | 4 2018 | ▪ Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein monoklonaler Antikörper vom Typ „humanes IgG1“, der an den Fibroblasten-Wachstumsfaktor FGF23 bindet und diesen neutralisiert<br>▪ für Kinder ab 1 Jahr<br>▪ **Orphan Drug** |
| Caplacizumab | Cablivi | Ablynx | Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworben | 10 2018 | ▪ Pulver für Infusionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein selektiver bivalenter humanisierter Nanobody gegen den von-Willebrand-Faktor (vWF) zur Prävention von Thromben durch Hemmung der Wechselwirkungen zwischen vWF, Kollagen und Blutplättchen<br>▪ Nanobodies sind Single-Domain-Fragmente von Antikörpern, die aufgrund ihrer Größe auch Stellen im Körper erreichen, die vollständigen Antikörpern aufgrund ihrer Größe verwehrt sind<br>▪ **Orphan Drug** |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Cariprazin | Reagila | Gedeon Richter | Schizophrenie | 4 2018 | ▪ Hartkapseln<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein Dopaminrezeptor-Antagonist und ein atypisches Antipsychotikum |
| Darvadstrocel | Alofisel | TiGenix | Perianalfisteln bei Patienten mit Morbus Crohn | 6 2018 | ▪ Suspension zur Injektion<br>▪ in Zellkultur vermehrte adulte mesenchymale Stammzellen aus dem Fettgewebe eines Spenders (Zelltherapieprodukt)<br>▪ Wirkstoff wird direkt in die Fisteln injiziert, wo er durch Immunregulation die Entzündungsaktivitäten hemmt<br>▪ bisher keine medikamentöse Behandlung verfügbar<br>▪ **Orphan Drug** |
| Durvalumab | Imfinzi | AstraZeneca | Lungenkrebs, nicht-kleinzelliger (NSCLC), PD-L1 positiv | 10 2018 | ▪ Konzentrat für Infusionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein gegen PD-L1 gerichteter monoklonaler Antikörper<br>▪ **personalisierter Ansatz**: nur anzuwenden bei bestätigter Expression von PD-L1 im Tumor |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Emicizumab | Hemlibra | Roche | Hämophilie A | 4 2018 | ▪ Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein bispezifischer Antikörper, der sowohl an Faktor X als auch an Faktor IX bindet und damit die Funktion des natürlichen Faktor VIII limitiert<br>▪ auch wirksam, wenn die Patienten Antikörper gegen Faktor VIII gebildet haben<br>▪ einmal wöchentliche Gabe, subkutan<br>▪ für Kinder ab Geburt zugelassen |
| Encorafenib | Braftovi | Pierre Fabre | Melanom, nicht-resezierbar oder metastasiert mit BRAF-V600-Mutation | 10 2018 | ▪ Hartkapseln<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein BRAF-V600 Kinase-Inhibitor (**personalisierter Ansatz**: nur einsetzen bei bestätigter BRAF-V600-Mutation im Tumor)<br>▪ Zulassung in Kombination mit Binimetinib |
| Erenumab | Aimovig | Novartis | Migräneprophylaxe | 11 2018 | ▪ Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein Calcitonin Gen-bezogener Peptid (CGRP)-Rezeptor-Antagonist<br>▪ erster Vertreter einer neuen Klasse von Migränemitteln<br>▪ Anwendung einmal monatlich; kann vom Patienten selbst vorgenommen werden |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat / Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Ertugliflozin / Sitagliptin | Steglujan | MSD | Diabetes Typ 2 | 5 2018 | ▪ Filmtabletten<br>▪ Wirkstoffe chemisch hergestellt<br>▪ Kombination eines neuen Wirkstoffs (Ertugliflozin) mit einem bekannten Wirkstoff<br>▪ neuer SGLT 2-Inhibitor in Kombination mit bekanntem Sitagliptin |
| Gemtuzumab ozogamicin | Mylotarg | Pfizer | Leukämie, akute myeloische (AML) | 9 2018 | ▪ Konzentrat für Infusionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein monoklonaler IgG4 kappa-Antikörper gegen CD33, der mit dem zyto-toxischen N-Acetyl-Calicheamicin verbunden ist<br>▪ N-Acetyl-Calicheamicin ist ein Derivat des Fermentationsprodukts Calicheamicin des Bakteriums *Micromonospora echinospora*<br>▪ **personalisierter Ansatz:** zur Behandlung der CD33-positiven AML<br>▪ für Kinder ab 15 Jahren<br>▪ **Orphan Drug** |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Glycerol-phenylbutyrat | Ravicti | Horizon | Harnstoffzyklusstörungen | 3 2018 | ▪ Flüssigkeit zum Einnehmen<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff bindet an das stickstoffhaltige Glutamin; diese Verbindung kann über die Nieren ausgeschieden werden mit dem Effekt, dass die Stickstoffspiegel im Körper sinken<br>▪ für Kinder ab 2 Monaten<br>▪ **Orphan Drug** |
| Impfstoff gegen Herpes Zoster (Varicella-Zoster-Virus Glycoprotein-E-Antigen) | Shingrix | GSK | Gürtelrose (Herpes Zoster) und Neuropathie nach Gürtelrose (Prävention) | 5 2018 | ▪ Pulver und Suspension für Injektionssuspension<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ zur aktiven Immunisierung von Erwachsenen ab 50 Jahren<br>▪ zur vollen Immunisierung müssen zwei Dosen angewendet werden im Abstand von 2-6 Monaten |
| Inotersen | Tegsedi | Jonis | Transthyretin-Amyloidose, ererbte (Polyneuropathien Grad 1 oder 2) | 10 2018 | ▪ Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Antisense-Arzneimittel, das die Produktion von Transthyretin hemmt und damit dessen Anreicherung in den Organen<br>▪ **Orphan-Drug** |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Letermovir | Prevymis | MSD | Prophylaxe von Infektionen mit dem Virus CMV bei Stamm-zelltransplantationen | 2 2018 | ▪ Filmtabletten<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ oraler, nicht-nukleosidischer Hemmer der CMV-Terminase<br>▪ Wirkstoff zielt auf die virale DNA-Synthese und hemmt Formierung sowie Freisetzung von Viruspartikeln<br>▪ **Orphan Drug** |
| Lutetium ($^{177}$Lu) oxodotreotid | Lutathera | Advanced Accelerator Applications | Gastroentero-pankreatische neuroendokrine Tumore | 4 2018 | ▪ Infusionslösung<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Radiopharmakon<br>▪ Wirkstoff ist ein radioaktiv markiertes Peptid mit hoher Affinität zum Subtyp 2 des Somatostatin-Rezeptors<br>▪ es zielt auf maligne Zellen, die diesen Subtyp 2 exprimieren und hat kaum eine Wirkung auf benachbarte, nicht maligne Zellen<br>▪ **Orphan Drug** |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/ Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Metreleptin | Myalepta | Aegerion | Lipodystrophien (Komplikationen durch Leptin-Mangel) | 10 2018 | ▪ Pulver für Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein rekombinantes Leptin der 2. Generation, das die physiologische Wirkung des Leptins nachahmt und so die Anreicherung verschiedener Fettarten in Leber- und Muskel-gewebe reduziert<br>▪ für Kinder ab 2 Jahren (Berardinelli-Seip-Syndrom) bzw. Jugendliche ab 12 Jahren (Barraquer-Simons-Syndrom)<br>▪ **Orphan Drug** |
| Ocrelizumab | Ocrevus | Roche | Multiple Sklerose, schubförmig oder primär progressiv | 2 2018 | ▪ Konzentrat für Infusionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt (monoklonaler Antikörper)<br>▪ Wirkstoff richtet sich gegen das CD20-Protein auf B-Zellen<br>▪ erstes Mittel gegen die primär progressive Form (PPMS) |
| Padeliporfin | Tookad | Steba Biotech | Prostatakarzinom (Niedrigrisiko-Adenokarzinom der Prostata) | 4 2018 | ▪ Pulver für Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff löst die Produktion von Sauerstoff-radikalen aus, die die Blutzufuhr des Tumors zerstören |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Patiromer | Veltassa | Vifor Fresenius | Hyperkaliämie bei chronischer Nierenerkrankung | 4 2018 | ▪ Pulver für orale Suspension<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein nicht-absorbierter polymerer Kaliumbinder |
| Patisiran | Onpattro | Alnylam | Transthyretin-Amyloidose, ererbte | 10 2018 | ▪ Konzentrat für Infusionslösung<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein siRNA-Molekül (small interfering RNA), das das Transthyretin-Gen stilllegt; dies blockt die Transthyretin-Produktion in der Leber und verlangsamt so das Fortschreiten der Erkrankung<br>▪ Herstellung mittels Lipid Nanoparticle Technology<br>▪ erstes Medikament für alle Formen der ererbten Transthyretin-Amyloidose<br>▪ **Orphan Drug** |
| Rurioctocog alfa | Adynovi | Baxalta | Hämophilie A | 2 2018 | ▪ Pulver für Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein pegylierter, rekombinanter menschlicher Blutgerinnungsfaktor VIII; die Pegylierung verlängert die Halbwertszeit, sodass eine Injektion nur alle 3-4 Tage notwendig ist<br>▪ für Kinder ab 12 Jahre |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Semaglutid | Ozempic | Novo Nordisk | Diabetes Typ 2 | 11 2018 | ▪ Injektionslösung im Fertigpen<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein langwirksames humanes GLP-1-Analogon<br>▪ wird einmal wöchentlich verabreicht |
| Sonidegib | Odomzo | Sun Pharma-ceuticals | Basalzellkarzinom | 2 2018 | ▪ Hartkapseln<br>▪ Wirkstoff chemisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein selektiver Smoothened (SMO)-Inhibitor; SMO steuert den Hedgehog (Hh)-Signalweg |
| Tezacaftor/ Ivacaftor | Symkevi | Vertex | Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CTFR-Gen | 12 2018 | ▪ Filmtabletten<br>▪ Wirkstoffe chemisch hergestellt<br>▪ Kombination eines bekannten mit einem neuen Wirkstoff (Tezacaftor)<br>▪ **personalisierter Ansatz**: Einsatz bei Patienten mit F508del- und einer zweiten, Ivacaftor-spezifischen Mutation im CTFR-Gen<br>▪ für Kinder ab 12 Jahren<br>▪ **Orphan Drug** |
| Tildrakizumab | Ilumetri | Allmiral | Plaque-Psoriasis | 11 2018 | ▪ Injektionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ist ein gegen Interleukin 23 gerichteter monoklonaler Antikörper<br>▪ wird alle 12 Wochen subkutan verabreicht |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/ Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Tilmanocept | Lympho-seek | Navidea | Diagnostikum: Lokalisation von Wächterlymphknoten | 9 2018 | ▪ Durchstechflasche, Kit für radioaktive Arzneimittel<br>▪ Radiopharmakon, das spezifisch an Mannose-bindende Rezeptor-Proteine bindet, die außen auf Makrophagen und dendritischen Zellen sitzen<br>▪ Tilmanocept wird vor einem chirurgischen Eingriff mit Techneticum-99m radioaktiv markiert |
| Tisagenlecleucel | Kymriah | Novartis | 1) Leukämie, akute lymphatische (ALL)<br>2) B-Zell-Lymphom, (DLBCL) | 9 2018 | ▪ Infusionsdispersion<br>▪ Wirkstoff besteht aus im Labor vermehrten T-Zellen des Patienten **(individuelle Therapie)**, die nach gentechnischem Eingriff einen chimären Antigen-Rezeptor exprimieren, um an CD19-tragende Zellen (B-Zellen) zu binden und sie zu zerstören; individuelle Therapie<br>▪ 1) Kinder ab Geburt; 2) Erwachsene<br>▪ **Orphan Drug** |

| Wirkstoff-Name (INN) | Produkt-name (in D) | Pharmaz. Unter-nehmer | Anwendungsgebiet | Markt-einführung (Monat/Jahr) | Bemerkungen |
|---|---|---|---|---|---|
| Velmanase alfa | Lamzede | Chiesi | Alpha-Mannosidose | 7 2018 | ▪ Pulver für Infusionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Enzymersatztherapie bei nicht neurologischen Manifestationen der Erkrankung, um den Abbau von Mannose-reichen Oligosacchariden zu unterstützten und deren Anreicherung im Gewebe zu verhindern<br>▪ für Kinder ab 6 Jahren<br>▪ **Orphan Drug** |
| Vestronidase alfa | Mepsevii | Ultragenyx | Mukopolysaccharidose VII (Sly Syndrom) | 10 2018 | ▪ Konzentrat für Infusionslösung<br>▪ Wirkstoff gentechnisch hergestellt<br>▪ Wirkstoff ersetzt das aufgrund eines angeborenen Gendefekts fehlende Enzym β-Glucuronidase<br>▪ Für Kinder ab Geburt<br>▪ betrifft in Deutschland weniger als 10 Patienten<br>▪ **Orphan Drug** |