

## Inhaltsverzeichnis

Vorwort .....	XIII
<b>1 Anti-Human-T-Lymphozyten-Immunglobulin vom Pferd .....</b>	<b>1</b>
Für Erwachsene und Kinder ab zwei Jahren, die unter einer erworbenen moderaten bis schweren aplastischen Anämie leiden, steht seit November 2022 das Präparat Atgam® mit equinem Anti-Human-T-Lymphozyten-Immunglobulin zur Verfügung. Die Zubereitung ist als Teil einer standardmäßigen immunsuppressiven Therapie für Patienten mit bekannter oder vermuteter immunologischer Ätiologie vorgesehen, die für eine hämatopoetische Stammzelltransplantation ungeeignet sind oder für die kein geeigneter Spender verfügbar ist.	
<b>2 Ciltacabtagen Autoleucel .....</b>	<b>7</b>
Für die Behandlung des rezidierten und refraktären multiplen Myeloms ist ab Februar 2023 das CAR-T-Zell-Präparat der zweiten Generation Ciltacabtagen Autoleucel (Carvykti®) auf dem deutschen Markt eingeführt worden. Die für jeden Patienten individuell hergestellte „lebende“ Immunzell-Therapie auf Basis autologer T-Zellen wird nach mindestens drei erfolglosen systemischen Behandlungen einschließlich eines Immunmodulators, eines Proteasom-Inhibitors und eines CD38-Antikörpers eingesetzt.	
<b>3 Cipaglusidase alfa .....</b>	<b>14</b>
Patienten mit Morbus Pompe leiden unter einem genetisch bedingten Mangel an saurer $\alpha$ -Glucosidase. Für die langfristige Enzyersatztherapie steht seit August 2023 das Präparat Pombiliti® mit der modifizierten rekombinanten Form Cipaglusidase alfa zur Verfügung. Die Zubereitung wird bei Pompe-Patienten mit der späten Verlaufsform (late-onset Pompe disease, LOPD) in Kombination mit dem Enzymstabilisator Miglustat angewendet.	
<b>4 Daridorexant .....</b>	<b>20</b>
Der Wirkstoff Daridorexant (Quviviq®) ist für Erwachsene mit Schlafstörungen indiziert, deren Symptome seit mindestens drei Monaten anhalten und bei denen die Leistungsfähigkeit am Folgetag stark beeinträchtigt ist. Durch eine einmal tägliche abendliche Einnahme des Orexin-Rezeptor-Antagonisten kann eine Verkürzung der Einschlafzeit und der Wachphasendauer nach Schlafbeginn erreicht werden.	
<b>5 Dengue-Virus-Impfstoff .....</b>	<b>27</b>
Erwachsene und Kinder ab vier Jahren können seit Mitte Februar 2023 mit dem tetravalenten Präparat Qdenga® eine vorbeugende Impfung gegen Dengue-Virus-Infektionen erhalten. Nach zweimaliger Applikation des attenuierten Lebendimpfstoffs im Abstand von drei Monaten wird innerhalb von etwa 30 Tagen ein nach derzeitigem Kenntnisstand über mindestens viereinhalb Jahre anhaltender Erkrankungsschutz erreicht.	

- 6 Deucravacitinib** ..... 32
- Deucravacitinib (Sotyktu®), ein peroral verfügbarer Inhibitor der Januskinase TYK2 (Non-Receptor Tyrosine-Protein Kinase 2), wird bei Erwachsenen mit mittelschwerer bis schwerer Plaque-Psoriasis angewendet, die für eine systemische Therapie infrage kommen. In klinischen Studien wurde bei etwa der Hälfte der Studienteilnehmer ein erscheinungsfreies oder nahezu erscheinungsfreies Hautbild erreicht.
- 7 Difelikefalin** ..... 38
- Der  $\kappa$ -Opioid-Rezeptor-Agonist Difelikefalin (Kapruvia®) ist für die Behandlung von erwachsenen Hämodialyse-Patienten indiziert, die unter mäßigem bis schwerem Pruritus im Zusammenhang mit ihrer chronischen Nierenerkrankung leiden. Normalerweise überwindet die Substanz die Blut-Hirn-Schranke nicht in relevantem Ausmaß.
- 8 Elacestrant** ..... 43
- Der Estrogen-Rezeptor-alpha(ER $\alpha$ )-Antagonist Elacestrant (Orserdu®) wird als Monotherapeutikum zur Behandlung des lokal fortgeschrittenen oder metastasierten Mammakarzinoms angewandt. Die Substanz kommt für Männer und postmenopausale Frauen mit Estrogen-Rezeptor(ER)-positivem und Humaner-Epidermaler-Wachstumsfaktor-Rezeptor-Typ-2(HER2)-negativem Tumor mit einer aktivierenden Estrogen-Rezeptor-1(ESR1)-Mutation infrage, deren Erkrankung nach mindestens einer endokrinen Therapielinie fortgeschritten ist.
- 9 Epcoritamab** ..... 49
- Der bispezifische CD20/CD3-Antikörper Epcoritamab (Tepkinly®) ist für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem diffusem großzelligem B-Zell-Lymphom (Diffuse Large B-Cell Lymphoma, DLBCL) vorgesehen. Die Substanz wird derzeit als Monotherapeutikum nach erfolgloser Vorbehandlung mit mindestens zwei Linien einer systemischen Therapie eingesetzt.
- 10 Eptacog beta** ..... 55
- Der rekombinante Gerinnungsfaktor VIIa Eptacog beta (aktiviert) (Cevenfacta®) ist für Erwachsene und Jugendliche ab zwölf Jahren zur Behandlung von Blutungsepisoden und zur Prävention von Blutungen bei Operationen oder invasiven Eingriffen indiziert. Er kommt für Patienten mit angeborener Hämophilie A oder B mit hochtitrigen Inhibitoren gegen die Gerinnungsfaktoren VIII oder IX infrage sowie bei Personen mit niedrigtitrigen Inhibitoren, bei denen mit einem hohen anamnestischen Inhibitor-Anstieg oder mit einer refraktären Reaktion auf hohe Dosen von FVIII oder FIX zu rechnen ist.

- 11 Etranacogen Dezaparvovec** ..... 62  
Etranacogen Dezaparvovec (Hemgenix<sup>®</sup>) wird bei Erwachsenen mit mittel- bis schwerer bis schwerer Hämophilie B (kongenitalem Faktor-IX-Mangel) angewandt. Das Gentherapeutikum muss nur ein Mal verabreicht werden und kommt für Patienten ohne Faktor-IX-Inhibitoren in der Vorgeschichte infrage. Als Genföhre dient ein Adeno-assoziiertes Virus Serotyp 5 (AAV5), das eine geringfügig abgewandelte DNA-Sequenz des menschlichen Gerinnungsfaktors IX enthält.
- 12 Evinacumab** ..... 68  
Für Erwachsene und Jugendliche ab zwölf Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterolämie steht seit September 2023 der Wirkstoff Evinacumab (Evkeeza<sup>®</sup>) zur Verfügung. Der Antikörper ist gegen das Lipidregulatorprotein Angiopoietin-like Protein 3 (ANGPTL3) gerichtet und wird als Add-on-Therapeutikum zur Senkung des Low-Density-Lipoprotein(LDL)-Cholesterolspiegels eingesetzt.
- 13 Faricimab** ..... 73  
Der sowohl gegen Angiopoietin 2 als auch den vaskulären endothelialen Wachstumsfaktor A gerichtete bispezifische Antikörper Faricimab (Vabysmo<sup>®</sup>) wird zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit neovaskulärer (feuchter) altersabhängiger Makuladegeneration oder einer Visus-Beeinträchtigung infolge eines diabetischen Makulaödems eingesetzt. Bei den Betroffenen kann eine signifikante Verbesserung der Sehschärfe erreicht werden.
- 14 Ferucarbotran** ..... 80  
Ferucarbotran (Resotran<sup>®</sup>) wird bei Erwachsenen als Kontrastmittel im Rahmen von Magnetresonanztomografien verwendet. Das eisenhaltige Diagnostikum ist zur Darstellung fokaler Leberläsionen indiziert, wenn eine kontrastmittelfreie Untersuchung keine eindeutige Diagnose ermöglicht.
- 15 Glofitamab** ..... 86  
Der bispezifische CD20/CD3-Antikörper Glofitamab (Columvi<sup>®</sup>) ist für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem diffusem großzelligem B-Zell-Lymphom (DLBCL) vorgesehen. Die Substanz wird derzeit als Monotherapeutikum nach Vorbehandlung mit dem CD20-Antikörper Obinutuzumab eingesetzt.
- 16 Ivosidenib** ..... 92  
Patienten mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (AML) mit einer Isocitrat-Dehydrogenase-1(IDH1)-R132-Mutation, die für eine Standard-Induktionschemotherapie nicht geeignet sind, können seit Juli 2023 mit dem IDH1-Inhibitor Ivosidenib (Tibsovo<sup>®</sup>) in Kombination mit dem Nucleosid-Analogen Azacitidin behandelt werden. Auch für bereits vorbehandelte Patienten mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Cholangiokarzinom und derselben IDH1-Mutation ist der Wirkstoff geeignet, hier wird Ivosidenib allerdings als Monotherapeutikum eingesetzt.

- 17 Lasmiditan** ..... 99  
 Lasmiditan (Rayvow®) ist für die Akutbehandlung der Kopfschmerzphase von Migräne-Attacken mit oder ohne Aura bei Erwachsenen vorgesehen. Die Wirkung beruht offenbar auf einer agonistischen Wirkung am serotoninergen 5-Hydroxytriptamin-1F(5-HT<sub>1F</sub>)-Rezeptor. Bei etwa 30 bis 40 % der Behandelten kann innerhalb von etwa zwei Stunden Schmerzfreiheit erreicht werden.
- 18 Lonafarnib** ..... 106  
 Für Patienten mit vorzeitiger Alterung aufgrund eines Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndroms oder progeroider Laminopathien mit Verarbeitungsfehlern im Zusammenhang mit einer heterozygoten Lamin-A(LMNA)-Mutation mit Progerie-ähnlicher Proteinakkumulation oder einer homozygoten oder zusammengesetzten heterozygoten ZMPSTE24-Mutation ab einem Alter von zwölf Monaten steht nun Lonafarnib (Zokinvy®) zur Verfügung. Der Farnesyltransferase-Inhibitor kann die Lebenserwartung der Betroffenen um einige Jahre verlängern.
- 19 Lonapegsomatropin** ..... 113  
 Das Wachstumsfaktor-Präparat Lonapegsomatropin (Skytrofa®) ist für die Behandlung von Wachstumsstörungen zugelassen. Es kommt bei Kindern und Jugendlichen ab einem Alter von drei Jahren mit unzureichender Ausschüttung von körpereigenem Wachstumshormon zum Einsatz. Durch das nur einmal pro Woche zu applizierende Lonapegsomatropin wird eine ähnliche Erhöhung der Wachstumsgeschwindigkeit wie bei dem täglich anzuwendenden genuinen Somatropin erreicht.
- 20 Loncastximab tesirin** ..... 120  
 Das Antikörper-Wirkstoff-Konjugat Loncastximab tesirin (Zynlonta®) wird als Monotherapie zur Behandlung des rezidivierten oder refraktären diffusen großzelligen B-Zell-Lymphoms (DLBCL) und des hochmalignen B-Zell-Lymphoms (HGBL) eingesetzt. Die durch den Antikörperanteil auf Zellen mit CD19-Protein gesteuerte zytotoxische Substanz ist für erwachsene Patienten vorgesehen, die gegenüber mindestens zwei systemischen Behandlungslinien refraktär sind.
- 21 Maralixibat** ..... 126  
 Patienten mit dem angeborenen Alagille-Syndrom (ALGS) können seit Anfang 2023 mit dem Inhibitor des Gallensäure-Transporters Maralixibat (Livmarli®) behandelt werden. Der peroral verfügbare Wirkstoff ist für Patienten ab einem Alter von zwei Monaten erprobt und führt zur Milderung des quälenden ALGS-assoziierten cholestatischen Pruritus.
- 22 Maribavir** ..... 132  
 Infektionen mit dem Cytomegalievirus (CMV) können ab sofort mit dem UL97-Proteinkinase-Inhibitor Maribavir (Livtency®) behandelt werden. Die Substanz kommt für Erwachsene infrage, die sich einer hämatopoetischen

Stammzelltransplantation oder einer Transplantation solider Organe unterzogen haben und die – mit oder ohne Vorliegen einer Resistenz – refraktär gegenüber einer oder mehreren vorhergehenden Therapieoptionen sind, beispielsweise auf Basis von Ganciclovir, Valganciclovir, Cidofovir oder Foscarnet.

- 23 Mavacamten** ..... 138  
 Erwachsene mit hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie (HOCM) können seit August 2023 mit dem selektiven Myosin-7-Inhibitor Mavacamten (Camzyos<sup>®</sup>) behandelt werden. Das peroral verfügbare Präparat ist für Patienten mit einer Herzinsuffizienz der NYHA(New-York-Heart-Association)-Klassifizierung II bis III vorgesehen und bewirkt bei vielen Betroffenen eine Verbesserung der Symptomatik und der Leistungsfähigkeit.
- 24 Mirikizumab** ..... 145  
 Erwachsene Patienten mit mittelschwerer bis schwerer aktiver Colitis ulcerosa, die auf eine konventionelle Therapie oder eine Biologika-Behandlung unzureichend angesprochen haben, nicht mehr darauf ansprechen oder eine Unverträglichkeit zeigen, können nun mit dem Interleukin-23-Inhibitor Mirikizumab (Omvoh<sup>®</sup>) therapiert werden. Das Immunsuppressivum wird initial intravenös verabreicht, die Erhaltungstherapie kann über eine subkutane Gabe mittels eines Fertipens bzw. einer Fertigspritze erfolgen.
- 25 Netarsudil** ..... 151  
 Der Rho-Kinasen-Inhibitor Netarsudil ist zur Behandlung von Erwachsenen mit primärem Offenwinkelglaukom oder okulärer Hypertension indiziert, bei denen eine Monotherapie mit einem Prostaglandin oder Netarsudil keine ausreichende Senkung des Augeninnendrucks herbeiführen kann. In Deutschland kommt der Wirkstoff im Präparat Roclanda<sup>®</sup> in Fixkombination mit dem Prostaglandin-F<sub>2α</sub>-Analogon Latanoprost zur Anwendung.
- 26 Nirsevimab** ..... 157  
 Neugeborene, Säuglinge und Kleinkinder können seit September 2023 das Immunglobulin Nirsevimab (Beyfortus<sup>®</sup>) zur Prävention von respiratorischen Synzytial-Virus(RSV)-Erkrankungen der unteren Atemwege erhalten. Das gut verträgliche Präparat mit dem gegen das RSV-Fusionsprotein gerichteten Antikörper dient zur passiven Immunisierung während der ersten RSV-Saison im Leben der Kinder.
- 27 Olipudase alfa** ..... 162  
 Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase (ASMD) vom Typ A/B oder Typ B außerhalb des zentralen Nervensystems können nun mit Olipudase alfa (Xenpozyme<sup>®</sup>) behandelt werden. Das Enzymersatztherapeutikum wird bei Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen in zweiwöchentlichen Abständen intravenös gegeben und führt zu einer signifikanten Verbesserung der Symptomatik.

- 28 Pegunigalsidase alfa** ..... 168  
Der Wirkstoff Pegunigalsidase alfa (Elfabrio®) ist für eine langfristige Enzym-ersatztherapie bei erwachsenen Patienten mit bestätigter Morbus-Fabry-Diagnose vorgesehen. Diese auf einem Mangel an  $\alpha$ -Galaktosidase A beruhende lysosomale Speicherkrankheit führt unbehandelt zur Einschränkung der Lebensqualität und Lebenserwartung, beispielsweise zu renalen, kardialen und zerebrovaskulären Manifestationen mit Nieren- und Herzversagen sowie Schlaganfällen.
- 29 Ritlicitinib** ..... 174  
Der peroral verfügbare Wirkstoff Ritlicitinib (Litfulo®) ist für Erwachsene und Jugendliche ab einem Alter von zwölf Jahren indiziert, die unter schwerer Alopecia areata (kreisrundem Haarausfall) leiden. Die Wirkung beruht auf einer irreversiblen Hemmung der Januskinase JAK3 und der Tyrosin-Proteinkinase-Familie TEC. Bei vielen Betroffenen wird eine deutliche Verbesserung der zugrunde liegenden entzündungsassoziierten Autoimmunerkrankung erreicht.
- 30 Respiratorisches-Synzytial-Virus(RSV)-Impfstoff** ..... 181  
Erwachsene ab 60 Jahren können seit August 2023 mit dem Impfstoff Arexvy® aktiv gegen das respiratorische Synzytial-Virus (RSV) immunisiert werden. Das Präparat dient zur Prävention von RSV-assoziierten Erkrankungen der unteren Atemwege. Auf diese Weise werden viele Geimpfte von schweren, teilweise lebensbedrohlichen Erkrankungsverläufen verschont.
- 31 Somapacitan** ..... 186  
Das Wachstumsfaktor-Präparat Somapacitan (Sogroya®) ist für die Behandlung eines endogenen Wachstumshormon-Mangels zugelassen. Es kommt zur Substitutionstherapie bei Kindern und Jugendlichen ab drei Jahren mit Wachstumsstörung aufgrund unzureichender Ausschüttung von körpereigenem Wachstumshormon (Pediatric Growth Hormone Deficiency, GHD) sowie bei Erwachsenen mit einem Wachstumshormon-Mangel (Adult Growth Hormone Deficiency, AGHD) zum Einsatz.
- 32 Sotrovimab** ..... 194  
Erwachsene und Jugendliche ab zwölf Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg und einem erhöhten Risiko, einen schweren COVID-19-Verlauf zu entwickeln, können mit dem Antikörper Sotrovimab (Xevudy®) behandelt werden. Der Wirkstoff ist gegen das virale Spikeprotein gerichtet und zur einmaligen Applikation bei Personen mit Vorliegen eines positiven Antigen-Schnell- oder PCR-Tests indiziert, die zu diesem Zeitpunkt keine zusätzliche Sauerstoffzufuhr benötigen.

- 33 Spesolimab** ..... 199  
Erwachsene Patienten mit Schüben einer generalisierten pustulösen Psoriasis (GPP) können seit Februar 2023 mit Spesolimab (Spevigo®) behandelt werden. Der Antikörper ist gegen den Interleukin-36-Rezeptor gerichtet und wird im Bedarfsfall als Monotherapeutikum einmalig intravenös appliziert.
- 34 Sutimlimab** ..... 205  
Für Erwachsene mit hämolytischer Anämie aufgrund einer Kälteagglutinin-Krankheit (Cold Agglutinin Disease, CAD) steht seit Januar 2023 das Antikörper-Präparat Sutimlimab (Enjaymo®) zur Verfügung. Der Wirkstoff führt zu einer Normalisierung der Hämoglobin-Werte und einem stark reduzierten Bedarf an Bluttransfusionen. Die Zubereitung wird im Rahmen der Erhaltungstherapie alle zwei Wochen intravenös appliziert.
- 35 Tabelecleucel** ..... 211  
Für Erwachsene und Kinder ab zwei Jahren mit Posttransplantations-lymphoproliferativer Erkrankung im Zusammenhang mit einer rezidivierten oder refraktären Epstein-Barr-Virus(EBV)-Infektion steht seit Mai 2023 das Immuntherapeutikum Tabelecleucel (Ebvallo®) zur Verfügung. Das Präparat enthält expandierte T-Zellen eines Spenders, die spezifisch gegen mit dem Epstein-Barr-Virus infizierte Zellen gerichtet sind. Die Zubereitung ist für Patienten vorgesehen, die mindestens eine vorherige Behandlung ohne Erfolg erhalten haben.
- 36 Talquetamab** ..... 217  
Der bispezifische Antikörper Talquetamab (Talvey®) ist gegen das Rezeptorprotein GPRC5D (G-protein coupled receptor family C group 5 member D) auf malignen Myelomzellen und das Oberflächenprotein CD3 auf zytotoxischen T-Zellen gerichtet. Er ist für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem multiplem Myelom vorgesehen. Die Substanz kommt derzeit als Monotherapeutikum nach erfolgloser Vorbehandlung mit mindestens drei hocheffektiven Therapieregimen zum Einsatz.
- 37 Teclistamab** ..... 224  
Der bispezifische Antikörper Teclistamab (Tecvayli®) ist gegen das B-Zell-Reifungsantigen (BCMA) und das Oberflächenprotein CD3 gerichtet. Er ist für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit rezidiviertem oder refraktärem multiplem Myelom indiziert. Die Substanz kommt derzeit als Monotherapeutikum nach erfolgloser Vorbehandlung mit mindestens drei Therapieregimen zum Einsatz, darunter einem immunmodulatorischen Wirkstoff, einem Proteasom-Inhibitor und einem CD38-Antikörper.

<b>38</b>	<b>Tezepelumab</b> .....	<b>230</b>
	Der gegen thymisches stromales Lymphopoietin gerichtete monoklonale Antikörper Tezepelumab (Tezspire®) ist als Add-on-Erhaltungstherapeutikum für Erwachsene und Jugendliche ab zwölf Jahren mit schwerem Asthma bronchiale geeignet. Die Substanz wird angewendet, wenn die Erkrankung unzureichend auf hoch dosierte inhalative Corticosteroide und weitere Arzneimittel zur Erhaltungstherapie anspricht. Bei den Betroffenen werden eine Reduktion von Asthma-Exazerbationen und eine verbesserte Krankungskontrolle erreicht.	
<b>39</b>	<b>Tirzepatid</b> .....	<b>236</b>
	Tirzepatid (Mounjaro®) ist ein dualer Agonist an Rezeptoren des Glucose-abhängigen insulinotropen Polypeptids (GIP) und des Glukagon-ähnlichen Peptids 1 (Glucagon-like peptide-1, GLP-1). Die Substanz steigert die Glucose-abhängige Insulin-Sekretion und verlangsamt die Magenentleerung. Sie wird bei erwachsenen Patienten eingesetzt, deren Typ-2-Diabetes-Erkrankung trotz Diät und körperlicher Aktivität unzureichend kontrolliert ist. Die subkutane Applikation von Tirzepatid erfolgt einmal wöchentlich.	
<b>40</b>	<b>Tremelimumab</b> .....	<b>242</b>
	Erwachsene mit fortgeschrittenem bzw. nicht resezierbarem hepatozellulärem Karzinom oder mit metastasiertem nicht-kleinzelligem Lungenkarzinom (non-small-cell lung cancer, NSCLC) können nun mit dem gegen das zytotoxische T-Lymphozyten-assoziierte Antigen 4 (CTLA-4) gerichteten Antikörper Tremelimumab (Imjudo®) behandelt werden. Der Wirkstoff wird als Erstlinien-Therapeutikum derzeit stets in Kombination mit dem Checkpoint-Inhibitor Durvalumab eingesetzt, bei NSCLC-Patienten erfolgt zusätzlich eine platinbasierte Chemotherapie.	
<b>41</b>	<b>Voclosporin</b> .....	<b>249</b>
	Für erwachsene Patienten mit aktiver Lupus-Nephritis der Klassen III, IV oder V steht seit Anfang März 2023 der Calcineurin-Inhibitor Voclosporin (Lupkynis®) zur Verfügung. Das Immunsuppressivum kann peroral appliziert werden und wird derzeit stets in Kombination mit dem weiteren Immunsuppressivum Mycophenolat-Mofetil eingesetzt.	
<b>42</b>	<b>Vutrisiran</b> .....	<b>256</b>
	Erwachsene, die aufgrund einer hereditären Transthyretin(TTR)-vermittelten Amyloidose (hATTR) unter einer Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 leiden, können nun mit der doppelsträngigen, kleinen interferierenden Ribonukleinsäure Vutrisiran (Amvuttra®) therapiert werden. Das Präparat führt zu einer verringerten Biosynthese des veränderten Proteins Transthyretin, sodass die Ablagerung von pathogenen Amyloiden in verschiedenen Geweben reduziert wird.	
	<b>Die Autorin</b> .....	<b>263</b>