

## Inhaltsverzeichnis

---

<b>Vorwort</b> .....	XIII
<b>1 Abaloparatid</b> .....	<b>1</b>
Abaloparatid (Eladynos <sup>®</sup> ), ein Peptid, das zu 41 % mit dem Parathormon (PTH) und zu 76 % mit dem Parathormon-verwandten-Peptid [PTHrP(1-34)] homolog ist, ist für die Behandlung der Osteoporose bei postmenopausalen Frauen mit erhöhtem Frakturrisiko indiziert. Die Therapie erfolgt normalerweise über bis zu 18 Monate mittels täglicher subkutaner Injektion durch die Patientinnen selbst.	
<b>2 Artesunat</b> .....	<b>7</b>
Das Antiprotozoikum Artesunat (Artesunate Amivas <sup>®</sup> ) wurde nun auch in Deutschland für die intravenöse Behandlung der Malaria auf dem Markt eingeführt. Die Substanz ist für die Initialtherapie schwerer Erkrankungsverläufe bei Erwachsenen und Kindern ab der Geburt vorgesehen und gilt für diese Fälle als Mittel der Wahl.	
<b>3 Capivasertib</b> .....	<b>13</b>
Erwachsene mit Estrogenrezeptor(ER)-positivem, HER2-negativem, lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Mammakarzinom und bestimmten genetischen Alterationen bei Wachstumsfaktorsignalwegen können seit Oktober 2024 mit Capivasertib (Truqap <sup>®</sup> ) behandelt werden. Der Inhibitor der Serin-Threonin-Kinasen AKT 1, 2 und 3 kommt bei weiblichen und männlichen Brustkrebspatienten nach Rezidiv oder Erkrankungsprogression während oder nach einer endokrinen Therapie zur Anwendung.	
<b>4 Crovalimab</b> .....	<b>19</b>
Der subkutan anwendbare Wirkstoff Crovalimab (Piasky <sup>®</sup> ) ist für Erwachsene mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH) vorgesehen. Der langwirksame Antikörper ist gegen das Komplementprotein C5 gerichtet und bereits bei PNH-Patienten ab zwölf Jahren einsetzbar. Durch die Therapie wird die Hämolysetendenz reduziert, zugleich sinkt die Notwendigkeit von Bluttransfusionen.	
<b>5 Danicopan</b> .....	<b>26</b>
Für Erwachsene mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH) und residueller hämolytischer Anämie steht seit Juni 2024 der neue Wirkstoff Danicopan (Voydeya <sup>®</sup> ) zur Verfügung. Die Substanz bindet reversibel an den Komplementfaktor D und blockiert selektiv den alternativen Weg der Komplementaktivierung. Danicopan wird als Add-on-Therapeutikum zu den Hemmstoffen der Komplementkomponente C5 Ravulizumab oder Eculizumab verwendet.	

- 6 Delgocitinib** ..... 32
- Erwachsene Patienten, die unter mittelschwerem bis schwerem chronischem Handekzem leiden und auf eine topische Corticosteroid-Therapie nicht ausreichend ansprechen, können seit Oktober 2024 mit Delgocitinib (Anzupgo®) behandelt werden. Der Inhibitor der vier bekannten Januskinasen JAK1, JAK2, JAK3 und TYK2 (Tyrosinkinase 2) wird topisch angewendet. Auf diese Weise ist es möglich, die überwiegend entzündliche Symptomatik mit nur minimaler systemischer Belastung zu kontrollieren.
- 7 Efanesoctocog alfa**..... 38
- Efanesoctocog alfa (Altuvoct®) wird bei angeborenem Faktor-VIII-Mangel (Hämophilie A, Bluterkrankheit) eingesetzt. Der rekombinant hergestellte humane Blutgerinnungsfaktor VIII ist zur Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Erwachsenen und Kindern jeden Alters geeignet. Durch insgesamt vier Modifikationen des genuinen Faktor-VIII-Moleküls wird eine Verlängerung der Eliminationshalbwertszeit erreicht und damit eine nur wöchentliche Applikation ermöglicht.
- 8 Efbemalenograstim alfa** ..... 45
- Für erwachsene Patienten, die aufgrund von malignen Tumoren mit einer zytotoxischen Chemotherapie behandelt werden, steht seit August 2024 das Fusionsprotein Efbemalenograstim alfa (Ryzneuta®) zur Verfügung. Der im Wirkstoff enthaltene Granulozyten-Kolonie-stimulierende Faktor bewirkt eine Verkürzung der Dauer von Chemotherapie-assoziierten Neutropenien sowie eine reduzierte Inzidenz von neutropenischem Fieber.
- 9 Elafibranor**..... 51
- Der duale Peroxisom-Proliferator-aktivierter Rezeptor(PPAR)- $\alpha/\delta$ -Agonist Elafibranor (Iqirvo®) ist für die Behandlung der primär biliären Cholangitis indiziert. Die Substanz kommt bei Erwachsenen als Zweitlinien-Therapeutikum zur Anwendung, die nicht ausreichend auf das Standardtherapeutikum Ursodeoxycholsäure ansprechen. Sie kann alleine oder in Kombination mit Ursodeoxycholsäure gegeben werden.
- 10 Elranatamab** ..... 57
- Elranatamab (Elrexfio®) ist ein bispezifischer Antikörper, der sich gegen das B-Zell-Reifungsantigen (BCMA) und das Oberflächenprotein CD3 richtet. 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 Therapieregimen zum Einsatz, darunter einen immunmodulatorischen Wirkstoff, einen Proteasom-Inhibitor und einen Anti-CD38-Antikörper.

- 11 Etrasimod** ..... 64  
Für die Behandlung der mittelschweren bis schweren aktiven Colitis ulcerosa ist nun neuerdings der Sphingosin-1-Phosphat(S1P)-Rezeptor-Modulator Etrasimod (Velsipity®) als Zweitlinien-Therapeutikum indiziert. Der peroral verfügbare Immunmodulator kann bei Erwachsenen und bereits auch bei Jugendlichen ab 16 Jahren zum Einsatz kommen, die auf eine konventionelle Therapie oder ein Biologikum unzureichend oder gar nicht angesprochen oder diese Medikationen nicht vertragen haben.
- 12 Fezolinetant** ..... 71  
Frauen, die unter Menopause-assoziierten, moderaten bis schweren vasomotorischen Symptomen wie Hitzewallungen leiden, können seit Februar 2024 mit dem Neurokinin-3(NK3)-Rezeptor-Antagonisten Fezolinetant (Veozza®) behandelt werden. Da die nichthormonell wirkende Substanz direkt in den Pathomechanismus der Beschwerden eingreift, erhofft man sich neben einer guten Wirksamkeit ein besseres Sicherheitsprofil als bei herkömmlichen Hormonersatztherapien.
- 13 Foslevodopa und Foscarbidopa** ..... 77  
Die mittels subkutaner Dauerinfusion zu verabreichende Kombination aus Foslevodopa und Foscarbidopa (Produodopa®) ist für Patienten mit fortgeschrittener, auf Levodopa ansprechender Parkinson-Krankheit vorgesehen. Sie ist für Erwachsene mit schweren motorischen Fluktuationen und Hyperkinesie oder Dyskinesie indiziert, wenn verfügbare Kombinationen von Antiparkinsonmitteln nicht zu zufriedenstellenden Ergebnissen geführt haben.
- 14 Fruquintinib** ..... 83  
Fruquintinib (Fruzaqla®) ist ein potenter und selektiver Inhibitor der drei vaskulären endothelialen Wachstumsfaktorrezeptoren (VEGFR). Die Substanz kann bei Erwachsenen mit metastasierendem kolorektalem Karzinom als Monotherapeutikum zum Einsatz kommen. Der Wirkstoff wurde für Patienten zugelassen, die bereits mit mehreren Standardtherapien erfolglos behandelt wurden oder diese nicht vertragen hatten.
- 15 Futibatinib** ..... 89  
Die Wirkung von Futibatinib (Lytgobi®) beruht auf einer Hemmung der Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptoren (Fibroblast Growth Factor Receptors) FGFR 1, 2, 3 und 4. Die Substanz ist als Monotherapeutikum zur Behandlung von Erwachsenen mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Cholangiokarzinom und einer Fusion oder einem Rearrangement im FGFR2-Gen vorgesehen, das auf mindestens eine vorangegangene systemische Therapielinie nicht mehr angesprochen hat.

- 16 Gadopiclenol** ..... 95  
Für Erwachsene und Kinder ab zwei Jahren steht seit April 2024 mit Gadopiclenol (Elucirem®) ein neues Diagnostikum zur Verfügung. Das Gadolinium-haltige Kontrastmittel wird im Rahmen der Magnetresonanztomografie (MRT) als Kontrastverstärker angewendet, um beispielsweise Pathologien mit einer Störung der Blut-Hirn-Schranke oder Anomalien der Gefäße besser detektieren und beurteilen zu können.
- 17 Insulin icodec** ..... 101  
Das erste Langzeit-Antidiabetikum Insulin icodec (Awiqli®) mit nur einmal wöchentlicher Verabreichung ist für Erwachsene mit Diabetes mellitus vom Typ 1 und 2 vorgesehen. Die Substanz wird im Organismus kontinuierlich aus einer starken Bindung an Albumin freigesetzt, sodass eine extrem langsame Elimination resultiert. Im Vergleich zu einmal täglich verabreichten Basalinsulinen wurde vor allem bei Typ-2-Diabetikern eine mindestens ebenbürtige Kontrolle der Blutzuckerspiegel nachgewiesen.
- 18 Iptacopan** ..... 108  
Für Erwachsene mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH) und residueller hämolytischer Anämie wurde im Juli 2024 der neue Wirkstoff Iptacopan (Fabhalta®) auf dem deutschen Markt eingeführt. Die peroral verfügbare Substanz wird als Monotherapie, unabhängig von einer Vorbehandlung mit anderen PNH-Therapeutika, verwendet. Die Wirkung beruht auf einer selektiven Bindung an den Komplementfaktor B, wodurch es zu einer Blockade des alternativen Wegs der Komplementaktivierung kommt.
- 19 Lebrikizumab** ..... 115  
Der IgG4-Antikörper Lebrikizumab (Ebglyss®) ist zur Behandlung der mittelschweren bis schweren atopischen Dermatitis (Neurodermitis) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab zwölf Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg indiziert. Als Hemmstoff des Interleukin-13(IL-13)-Signalwegs führte er in klinischen Studien zu einer signifikanten Besserung des Hautbilds und der Lebensqualität sowie von unerwünschten Symptomen wie Juckreiz und hierdurch bedingten Schlafstörungen.
- 20 Linzagolix** ..... 121  
Frauen im gebärfähigen Alter und mit Beschwerden aufgrund von Uterusmyomen können nun mit dem Gonadotropin-Releasing-Hormon(GnRH)-Rezeptorantagonisten Linzagolix (Ysely®) behandelt werden. Der selbst nicht-hormonelle Wirkstoff ist für Patientinnen mit mäßiger bis starker Symptomatik vorgesehen und führt zu einem deutlich reduzierten monatlichen Blutverlust.

- 21 Lutetiumvipivotidtetraaxetan** ..... 128
- Zur Behandlung von Erwachsenen mit progredientem Prostata-spezifisches-Membranantigen-(PSMA-)positivem, metastasiertem, kastrationsresistentem Prostatakarzinom steht seit Juni 2024 das Radiotherapeutikum ( $^{177}\text{Lu}$ ) Lutetiumvipivotidtetraaxetan zur Verfügung. Der Wirkstoff kommt für Patienten infrage, die zuvor mittels Inhibition des Androgenrezeptor-Signalwegs und taxanbasierter Chemotherapie behandelt wurden. Das Präparat wird in Kombination mit einer Androgen-Deprivationstherapie angewendet.
- 22 Momelotinib** ..... 135
- Eine primäre Myelofibrose, Post-Polycythaemia-vera-Myelofibrose oder Post-essenzielle-Thrombozythämie-Myelofibrose bei Erwachsenen kann seit Februar 2024 mit dem Januskinasen(JAK)-Inhibitor Momelotinib (Omjara<sup>®</sup>) behandelt werden. Die Substanz dient zur Linderung krankheitsbedingter Symptome wie Splenomegalie oder Anämie. Infrage kommen Personen, die nicht mit einem JAK-Inhibitor vorbehandelt wurden oder im Vorfeld bereits Ruxolitinib erhalten haben.
- 23 mRNA-RSV-Impfstoff** ..... 142
- Mit dem mRNA-Impfstoff im Präparat mResvia<sup>®</sup> wird bei Personen ab 60 Jahren eine aktive Immunisierung zur Vorbeugung von Infektionen durch das respiratorische Synzytial-Virus (RSV) und den damit verbundenen Erkrankungen der unteren Atemwege ermöglicht. In der zulassungsrelevanten klinischen Studie lag die Impfstoffwirksamkeit bei etwa 84 %.
- 24 Omaveloxolon** ..... 148
- Für Erwachsene und Jugendliche ab 16 Jahren, die unter der seltenen Erkrankung Friedreich-Ataxie leiden, steht seit März 2024 ein erstes zugelassenes Therapeutikum zur Verfügung. Omaveloxolon (Skyclarys<sup>®</sup>) ist ein Aktivator des Nrf2 [Nuclear factor (erythroid-derived 2)-like 2]-Signalwegs. Die peroral verfügbare Substanz führt zu einer Verringerung der körperlichen Beeinträchtigungen wie Koordinations- und Gehstörungen.
- 25 Palopegteriparatid** ..... 154
- Das Prodrug Palopegteriparatid (Yorvipath<sup>®</sup>) ist für Erwachsene mit chronischem Hypoparathyreoidismus indiziert, die eine Parathormon(PTH)-Substitutionstherapie benötigen. Die wirkrelevante Aminosäuren-Teilsequenz des Parathormons (PTH) wird aus dem Molekül nach kontrollierter Abspaltung eines Methoxypolyethylenglykol-Trägers freigesetzt. Die Herstellung erfolgt mittels TransCon<sup>®</sup>-Technologie, wobei „TransCon“ transiente Konjugation bedeutet.

- 26 Pegzilarginase** ..... 160  
 Patienten mit Arginase-1-Mangel können neuerdings mit dem Wirkstoff Pegzilarginase (Loargys®) eine langfristige Enzyersatztherapie erhalten. Die bislang einzige kausal wirkende Therapieoption wird bei Erwachsenen und Kindern ab zwei Jahren subkutan appliziert. Die sehr seltene Erkrankung führt unbehandelt zu Wachstumsstörungen, spastischen Lähmungen und Bewegungsunfähigkeit.
- 27 Pirtobrutinib** ..... 165  
 Der reversible Bruton-Tyrosinkinase(BTK)-Inhibitor Pirtobrutinib (Jaypirca®) ist eine neue Behandlungsoption für Erwachsene mit rezidiviertem oder refraktärem Mantelzell-Lymphom (MCL). Der Wirkstoff wird als Monotherapie bei Patienten angewendet, die zuvor mit einem anderen BTK-Inhibitor erfolglos behandelt wurden.
- 28 Quizartinib** ..... 171  
 Eine neu diagnostizierte akute myeloische Leukämie (AML) ist nun mit Quizartinib (Vanflyta®), einem Inhibitor der FMS-ähnlichen (like) Tyrosinkinase 3 (FLT3) therapierbar. Die peroral verfügbare Substanz wird zunächst in Kombination mit einer Cytarabin- und Anthracyclin-basierten Induktions- und Konsolidierungs-Chemotherapie angewendet. Im Anschluss erfolgt eine Erhaltungstherapie mit Quizartinib als Monotherapie.
- 29 rADAMTS13** ..... 177  
 Die rekombinant hergestellte Form des körpereigenen Enzyms ADAMTS13 (Adzyna®) ist als Enzyersatztherapeutikum zur Behandlung einer kongenitalen thrombotisch-thrombozytopenischen Purpura (cTTP) indiziert. Die Betroffenen weisen eine angeborene gestörte Aktivität der Metalloprotease ADAMTS13 auf. Das Präparat ist für Patienten aller Altersgruppen geeignet.
- 30 Rezafungin** ..... 183  
 Erwachsene mit invasiven Candida-Infektionen können seit Februar 2024 mit dem Antimykotikum Rezafungin (Rezzayo®) behandelt werden. Der Wirkstoff aus der Gruppe der Echinocandine wird in wöchentlichen Abständen intravenös appliziert. Bei mehr als der Hälfte der teilweise lebensbedrohlich erkrankten Patienten verschwinden die Symptome innerhalb von zwei Therapiewochen.
- 31 Rozanolixizumab** ..... 188  
 Der Antikörper Rozanolixizumab (Rystiggo®) ist als Zusatztherapeutikum für Erwachsene mit generalisierter Myasthenia gravis indiziert. Der Wirkstoff ist gegen den neonatalen Fc-Rezeptor (FcRn) auf IgG-Antikörpern gerichtet und für Patienten geeignet, deren Erkrankung auf der Bildung von körpereigenen Antikörpern gegen Acetylcholin (ACh)-Rezeptoren oder die muskelspezifische Tyrosinkinase (MuSK) beruht.

- 32 Sotatercept**..... 194  
 Zur Verbesserung der körperlichen Leistungsfähigkeit von Patienten mit pulmonaler arterieller Hypertonie (PAH) wurde der Aktivin-A-Inhibitor Sotatercept (Winrevair®) zugelassen. Das First-in-Class-Therapeutikum ist für die subkutane Add-on-Behandlung in Kombination mit anderen PAH-Therapeutika vorgesehen. Es kommt für erwachsene Patienten mit der WHO-Funktionsklasse II bis III infrage.
- 33 Sparsentan**..... 200  
 Der duale Endothelin-Angiotensin-Rezeptorantagonist Sparsentan (Filspari®) ist für Erwachsene mit primärer Immunglobulin-A-Nephropathie (IgAN) indiziert. Der im August 2024 auf dem deutschen Markt eingeführte Wirkstoff kommt für Patienten mit einer täglichen renalen Ausscheidung von mehr als einem Gramm Protein infrage oder bei einem Protein/Kreatinin-Quotienten oberhalb von 0,75 g/g.
- 34 Tislelizumab** ..... 206  
 Für die Behandlung des fortgeschrittenen oder metastasierten nicht-kleinzelligen Lungenkarzinoms sowie des ösophagealen Plattenepithelkarzinoms wurde im September 2024 der gegen den Checkpoint-Rezeptor Programmed-Death-1 (PD-1) gerichtete Antikörper Tislelizumab (Tevimbra®) zugelassen. Die Substanz wird in Abhängigkeit von der genauen Indikation allein oder in Kombination mit verschiedenen Chemotherapeutika angewendet, teilweise auch schon als Erstlinientherapeutikum.
- 35 Tofersen**..... 213  
 Tofersen (Qalsody®) ist zur Behandlung von Erwachsenen mit amyotropher Lateralsklerose (ALS) indiziert. Das Antisense-Oligonukleotid kann bei Patienten mit Vorliegen einer Mutation im Superoxid-Dismutase-1(SOD1)-Gen zum Einsatz kommen. Durch die reduzierte Produktion des fehlerhaften Enzyms ist es bei den Betroffenen in allerdings sehr begrenztem Ausmaß möglich, das Fortschreiten der Symptomatik zu verlangsamen.
- 36 Ublituximab**..... 219  
 Für Erwachsene mit schubförmiger multipler Sklerose wurde aktuell der monoklonale humane CD20-Antikörper Ublituximab (Briumvi®) zugelassen. Die Wirkung des Immunmodulators beruht auf einer Depletion von CD20-positiven B-Lymphozyten. Als Folge kommt es zu einer Reduktion der Erkrankungsschübe und der zerebralen Läsionen. In der Erhaltungsphase erfolgt die intravenöse Applikation in Abständen von 24 Wochen.
- 37 Vadadustat**..... 225  
 Zur Behandlung einer symptomatischen Anämie bei Patienten mit chronischer Nierenerkrankung steht nun der Hypoxie-induzierbarer-Faktor-Prolylhydroxylase-Inhibitor (HIF-PHI) Vadadustat (Vafseo®) zur Verfügung. Der Wirkstoff ist derzeit ausschließlich für Erwachsene erprobt, die eine chronische Erhaltungsdialyse erhalten.

<b>38</b>	<b>Vamorolon</b> .....	<b>231</b>
	Das dissoziative Corticosteroid Vamorolon (Agamree®) ist für die Therapie von Patienten mit Duchenne–Muskeldystrophie vorgesehen. Die peroral verfügbare Substanz kommt bei Kindern und Jugendlichen ab vier Jahren zum Einsatz. In einer klinischen Studie führte sie gegenüber der Placebogabe zu einer signifikanten Stabilisierung oder sogar Verbesserung der Beweglichkeit, beispielsweise zu einem rascheren Aufstehen und Gehen.	
<b>39</b>	<b>Vibegron</b> .....	<b>237</b>
	Vibegron (Obgemsä®) bewirkt als $\beta_3$ -Adrenozeptor–Agonist eine Entspannung der Harnblasenmuskulatur und eine Verbesserung der Speicherfunktion der Harnblase. Der Wirkstoff wird bei Erwachsenen mit überaktiver Blase zur symptomatischen Therapie von imperativem Harndrang, erhöhter Miktionsfrequenz und Dranginkontinenz eingesetzt.	
<b>40</b>	<b>Zilucoplan</b> .....	<b>243</b>
	Für Erwachsene mit generalisierter Myasthenia gravis steht mit Zilucoplan (Zilbrysq®) seit März 2024 ein neues Add-on–Therapeutikum zusätzlich zur üblichen Standardtherapie zur Verfügung. Der Wirkstoff kann von den Patienten selbst subkutan injiziert werden und hemmt über einen dualen Wirkmechanismus die Wirkung des Komplementproteins C5. Zilucoplan ist für Patienten mit körpereigenen, gegen den Acetylcholin–Rezeptor gerichteten Antikörpern geeignet.	
<b>41</b>	<b>Zolbetuximab</b> .....	<b>250</b>
	Der Claudin–18.2–Antikörper Zolbetuximab (Vyloy®) ist für die Therapie von Erwachsenen mit lokal fortgeschrittenem inoperablem oder metastasiertem Adenokarzinom des Magens oder des gastroösophagealen Übergangs angezeigt. Die Substanz kommt als Erstlinientherapeutikum zusammen mit einer Fluoropyrimidin– und Platin–haltigen Chemotherapie zur Anwendung. Voraussetzung ist, dass die Tumore das Protein Claudin 18.2 exprimieren.	
	<b>Die Autorin</b> .....	<b>257</b>