

# Die neuesten Mittel gegen die „Seltenen“

## Weitere 2.400 Medikamente in der Entwicklung

Immer mehr der geschätzten 8.000 seltenen Erkrankungen sind inzwischen behandelbar, jedes Jahr kommen im Zuge des medizinischen Fortschritts neue Therapieoptionen hinzu. Derzeit befinden sich mehr als 2.400 „Orphan Drugs“ in der Entwicklung, 132 sind in der Europäischen Union (EU) als solche zugelassen,

18 davon kamen im letzten Jahr neu hinzu (s. **Tab. 1**).

Auch für 2022 rechnet der Verband der forschenden Arzneimittelhersteller (vfa) mit ähnlich vielen Innovationen in diesem Bereich. So könnte z. B. erstmals ein Gentherapeutikum zur Behandlung der Hämophilie-A verfügbar werden. Des

Weiteren in der Pipeline: Ein Medikament gegen die fortschreitende Verknöcherung des Binde- und Stützgewebes (Fibrodysplasia ossificans progressiva) und ein Mittel, das die Lebenserwartung von Patienten mit beschleunigten Alterungsvorgängen aufgrund des Hutchinson-Gilford-Syndroms erhöht. *khp ■*

Tab. 1 Orphan-Drugs-Neuzulassungen 2021

Indikation	Produkt (Wirkstoff)	Unternehmen	Erkrankte in der EU
<b>Blastische plasmazytoide dendritische Zellneoplasien</b> Blutkrebs (Überproduktion plasmazytoider dendritischer Zellen)	Tagraxofusp (Elzonris®)	Stemline Therapeutics	4.500
<b>Myelofibrose, sekundär, post-Polycythaemia vera</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach einer Polycythaemia vera	Fedratinib (Inrebic®)	Bristol Myers Squibb	7.000
<b>Myelofibrose, primäre</b> , krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Fedratinib (Inrebic®)	Bristol Myers Squibb	13.000
<b>Myelofibrose, sekundäre, postessenzielle Thrombozythämie</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach essenzieller Thrombozythämie	Fedratinib (Inrebic®)	Bristol Myers Squibb	7.000
<b>Spinale Muskelatrophie Typ 1, 2, 3 oder 1 bis 4 SMN2-Kopien</b> Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein	Risdiplam (Evrysdi®)	Roche	18.000
<b>Cholangiokarzinom</b> Krebs im Gallengang	Pemigatinib (Pemazyre®)	Incyte Biosciences	67.000
<b>Wachstumstörungen</b> Mangel an Wachstumshormonen	Somapacitan (Sogroya®)	Novo Nordisk	210.000
<b>Neurofibromatose 1 (plexiforme Neurofibrome)</b> gut- und bösartige Tumore der Haut und der Nerven	Selumetinib (Koselugo®)	AstraZeneca	134.000
<b>Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen</b> Entzündungserkrankungen, die vor allem Sehnerv und Rückenmark betreffen und schädigen	Satralizumab (Enspryng®)	Roche	18.000
<b>Adipositas durch Leptin-Rezeptor-Mangel</b> genetisch bedingter Mangel an Bindestellen für das Hormon Leptin, das Sättigung signalisiert	Setmelanotid (Imcivree®)	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
<b>Progressive familiäre intrahepatische Cholestase</b> gestörter Transport von Gallenflüssigkeit mit daraus folgender Leberschädigung	Odevixibat (Bylvy®)	Albireo	1.300
<b>Adipositas durch Proopiomelanocortin-Mangel</b> unzureichende Hungerkontrolle durch Mangel dieser Hormonvorstufe	Setmelanotid (Imcivree®)	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
<b>Achondroplasie</b> Skelettdysplasie/Kleinwuchs mit gestörter Knorpel- und Knochenbildung	Vosoritid (Voxzogo®)	BioMarin Europe	17.900
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Tafasitamab (Minjuvi®)	Incyte Biosciences	178.000
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs – Überproduktion maligner Plasmazellen	Idecabtagen Vicleucel (Abecma®)	Bristol-Myers Squibb	205.000
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b> Sarkome des Magen-Darm-Gewebes	Ripretinib (Qinlock®)	Deciphera	133.000
<b>Malaria, schwere Verläufe</b> Infektionskrankheit mit dem Risiko lebensbedrohlicher Komplikationen	Artesunat (Artesunat Amivas®)	Amivas	5.150
<b>Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie</b> Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Pegcetacoplan (Aspaveli®)	Swedish Orphan Biovitrum	17.500

Quelle: vfa