

Dordaviprone (ONC201 / Modeyso™) und ONC206

Dordaviprone – früher ONC201

Das lange unter der Bezeichnung ONC201 bekannte Medikament trägt heute den Wirkstoffnamen Dordaviprone und wird in den USA unter dem Handelsnamen Modeyso™ vertrieben.

Dordaviprone ist ein oral einzunehmendes Krebsmedikament aus der Wirkstoffklasse der sogenannten Imipridone. Der Wirkstoff wird seit mehreren Jahren insbesondere für die Behandlung von diffusen Mittelliniengliomen (DMG) mit einer H3-K27M-Mutation untersucht.

Am 6. August 2025 erhielt Dordaviprone in den USA eine beschleunigte Zulassung durch die Food and Drug Administration (FDA). Es ist damit das erste von der FDA zugelassene systemische Medikament speziell für H3-K27M-mutierte diffuse Mittelliniengliome.

Für wen gilt die FDA-Zulassung?

Die FDA-Zulassung von Modeyso™ gilt für Erwachsene und Kinder ab einem Jahr mit einem diffusen Mittelliniengliom mit H3-K27M-Mutation, dessen Erkrankung nach vorheriger Therapie fortgeschritten ist.

Es handelt sich um eine sogenannte Accelerated Approval, also eine beschleunigte Zulassung. Der weitere klinische Nutzen muss durch zusätzliche Studien bestätigt werden.

Was zeigten die Daten zur FDA-Zulassung?

Grundlage der Zulassung war eine zusammengefasste Auswertung von 50 Erwachsenen und Kindern mit fortgeschrittenem, messbarem H3-K27M-mutiertem diffusem Mittelliniengliom, die Dordaviprone als alleinige Therapie erhalten hatten.

Bei 22 Prozent wurde ein objektives Ansprechen des Tumors festgestellt. Die mediane Dauer dieses Ansprechens betrug 10,3 Monate.

Diese Ergebnisse sind ermutigend, müssen für DIPG jedoch besonders sorgfältig eingeordnet werden:

Patienten mit klassischem DIPG waren aus dieser für die Zulassung ausgewerteten Wirksamkeitspopulation ausgeschlossen.

Die Zulassung umfasst aufgrund der übergeordneten Diagnose eines H3-K27M-mutierten diffusen Mittellinienglioms dennoch auch entsprechende Tumoren im Pons. Die genannten Ansprechraten dürfen jedoch nicht so verstanden werden, als seien sie speziell für Kinder mit DIPG nachgewiesen worden.

Wie wirkt Dordaviprone?

Dordaviprone ist keine klassische Chemotherapie.

Ein wesentlicher Teil des Wirkmechanismus ist die Aktivierung der mitochondrialen Protease ClpP. Dadurch werden Stoffwechsel- und Stressprozesse innerhalb der Tumorzellen verändert, die schließlich zum Absterben der Zellen führen können.

Darüber hinaus beeinflusst Dordaviprone den Dopamin-D2-Rezeptor (DRD2) und weitere Signalwege innerhalb der Tumorzellen.

Gerade bei H3-K27M-mutierten Tumorzellen wurden verschiedene biologische Effekte beobachtet, die erklären könnten, weshalb diese Tumorgruppe besonders empfindlich auf Dordaviprone reagieren kann.

Wie wird Dordaviprone eingenommen?

Dordaviprone wird einmal wöchentlich oral eingenommen.

Für Patienten mit einem Körpergewicht ab 52,5 kg beträgt die in den USA zugelassene Dosis 625 mg einmal wöchentlich. Bei Kindern und Patienten mit geringerem Körpergewicht wird die Dosierung gewichtsabhängig angepasst.

Für Kinder, die Kapseln nicht schlucken können, sieht die US-amerikanische Fachinformation Möglichkeiten vor, den Kapselinhalt entsprechend den dort beschriebenen Vorgaben in Flüssigkeit zuzubereiten.

Die genaue Einnahme und Dosierung muss immer mit dem behandelnden Arzt abgestimmt werden.

Mögliche Nebenwirkungen

Zu den häufig beobachteten Nebenwirkungen gehören unter anderem:

Müdigkeit
Kopfschmerzen
Übelkeit
Erbrechen
Muskel-, Gelenk- oder Knochenschmerzen

Darüber hinaus können Veränderungen verschiedener Blut- und Laborwerte auftreten.

Besondere Beachtung benötigt eine mögliche Verlängerung des QTc-Intervalls des Herzens. Dadurch kann das Risiko für Herzrhythmusstörungen erhöht sein. Abhängig von der individuellen Situation können deshalb EKG- und Blutkontrollen notwendig sein.

Auch Wechselwirkungen mit anderen Medikamenten müssen berücksichtigt werden.

Dordaviprone und DIPG: Warum ist die Situation besonders?

DIPG gehört biologisch zu den diffusen Mittelliniengliomen. Dennoch wurden Patienten mit einem klassischen DIPG – einem Tumor mit pontinem Epizentrum und diffuser Beteiligung der Pons – aus der laufenden Phase-III-Studie ACTION ausdrücklich ausgeschlossen.

Auch die Daten, die zur beschleunigten FDA-Zulassung führten, stammen nicht aus der klassischen DIPG-Population.

Das bedeutet jedoch nicht, dass Dordaviprone für Patienten mit DIPG grundsätzlich nicht zur Verfügung steht.

Für diese Patientengruppe können andere Zugangswege infrage kommen.

Compassionate Use / Expanded Access bei DIPG

Für Patienten, die Dordaviprone nicht im Rahmen einer klinischen Studie erhalten können, bestehen unter bestimmten Voraussetzungen Möglichkeiten eines Zugangs außerhalb klinischer Studien.

Solche Programme werden – abhängig vom jeweiligen Land und dem konkreten Verfahren – unter anderem als Compassionate Use, Expanded Access, Early Access oder Named Patient Access bezeichnet.

Für Dordaviprone wurde ein Expanded-Access-Programm speziell für Patienten mit H3-K27M-mutierten und/oder Mittelliniengliomen eingerichtet.

Dieses Programm enthält ausdrücklich einen eigenen Arm für Patienten mit DIPG. DIPG wird dabei als Tumor mit pontinem Epizentrum und diffuser Beteiligung der Pons definiert.

Für diesen DIPG-Arm muss der H3-K27M-Status nicht zwingend bekannt oder positiv sein.

Welche Zugangsmöglichkeit aktuell für einen Patienten in Deutschland besteht, muss individuell geprüft werden. Der Antrag auf einen individuellen Early bzw. Named Patient Access erfolgt grundsätzlich über den behandelnden Arzt und nicht durch die Familie selbst.

Für Patienten außerhalb der USA können behandelnde Ärzte entsprechende Anfragen an Jazz Pharmaceuticals richten.

Kontakt für behandelnde Ärzte: EarlyAccess@jazzpharma.com

Weitere Informationen: [Erweiterter Zugang | Jazz Pharmaceuticals](#)

Da sich Zugangsprogramme und Voraussetzungen ändern können, sollte vor einem Antrag immer der aktuelle Stand direkt beim Hersteller bzw. über das behandelnde Zentrum geprüft werden.

Situation in Deutschland

Dordaviprone/Modeyso™ besitzt derzeit keine reguläre Zulassung in Deutschland bzw. der Europäischen Union.

Die US-amerikanische FDA-Zulassung gilt nicht automatisch für Deutschland.

Das bedeutet jedoch nicht, dass eine Behandlung in Deutschland grundsätzlich ausgeschlossen ist. Abhängig vom individuellen Fall können besondere Zugangs- und Importmöglichkeiten bestehen.

Auch die Kostenübernahme durch eine gesetzliche Krankenkasse kann beantragt werden.

Kostenübernahme – ein wichtiger Gerichtsbeschluss aus Deutschland

Das Sozialgericht Düsseldorf hat am 22. Juni 2026 in einem Eilverfahren (Az. S 8 KR 953/26 ER) eine gesetzliche Krankenkasse verpflichtet, die Kosten für die Behandlung eines Patienten mit Modeyso/ONC201 zunächst zu übernehmen.

Bei dem betroffenen Patienten handelte es sich nicht um einen Patienten mit DIPG, sondern um einen Patienten mit einem hemisphärischen H3-K27M-mutierten Gliom.

Der Beschluss ist deshalb nicht unmittelbar auf jeden DIPG-Fall übertragbar und stellt auch keine generelle Verpflichtung aller Krankenkassen zur Kostenübernahme dar.

Trotzdem ist die Entscheidung für betroffene Familien von erheblicher Bedeutung.

Das Gericht stellte fest, dass die fehlende Zulassung von Modeyso in Deutschland bzw. der Europäischen Union einen Leistungsanspruch gegenüber der gesetzlichen Krankenversicherung nicht grundsätzlich ausschließt.

Unter den engen Voraussetzungen des § 2 Abs. 1a SGB V kann bei einer lebensbedrohlichen oder regelmäßig tödlich verlaufenden Erkrankung ein Anspruch auf eine Behandlung außerhalb des regulären Leistungskatalogs bestehen, wenn keine allgemein anerkannte, dem medizinischen Standard entsprechende Leistung zur Verfügung steht und eine nicht ganz entfernt liegende Aussicht auf Heilung oder eine spürbare positive Einwirkung auf den Krankheitsverlauf besteht.

Der Beschluss zeigt damit auch:

Eine Ablehnung der Kostenübernahme durch die Krankenkasse muss nicht das Ende des Verfahrens sein.

Wird die Kostenübernahme für Dordaviprone abgelehnt, kann es sinnvoll sein, die Entscheidung rechtlich prüfen zu lassen. Aufgrund des schnellen Krankheitsverlaufs bei DIPG kann dabei gegebenenfalls auch ein gerichtliches Eilverfahren vor dem zuständigen Sozialgericht in Betracht kommen.

Ob die Voraussetzungen im konkreten Fall erfüllt sind, muss immer individuell geprüft werden.

Der Düsseldorfer Beschluss kann dabei eine wichtige Argumentationsgrundlage sein, ersetzt aber keine Einzelfallprüfung und garantiert nicht, dass ein anderes Gericht in einem DIPG-Fall genauso entscheiden wird.

Weitere Informationen: [MODEYSO™ \(Dordavipron\) | Offizielle Patientenseite](#)

Die ACTION-Studie – nicht für klassisches DIPG

Die internationale Phase-III-Studie ACTION (NCT05580562) untersucht Dordaviprone bei neu diagnostizierten H3-K27M-mutierten diffusen Gliomen nach Abschluss der ersten Strahlentherapie.

Für Familien mit DIPG ist jedoch eine Einschränkung entscheidend:

Patienten mit klassischem DIPG sind ausdrücklich von der Teilnahme ausgeschlossen.

Als DIPG definiert die Studie Tumoren mit einem pontinen Epizentrum und diffuser Beteiligung der Pons.

Die Ergebnisse der ACTION-Studie können deshalb später wichtige Erkenntnisse über Dordaviprone bei anderen H3-K27M-mutierten diffusen Gliomen liefern, sie beantworten aber nicht unmittelbar die Frage nach der Wirksamkeit bei klassischem DIPG.

ONC206

ONC206 gehört wie Dordaviprone zur Wirkstoffklasse der Imipridone und wurde als weiterer Wirkstoff dieser Substanzklasse entwickelt.

ONC206 beeinflusst unter anderem die mitochondriale Protease ClpP und damit verschiedene Stoffwechsel- und Stressprozesse innerhalb der Tumorzellen.

Präklinische Untersuchungen zeigten eine antitumorale Aktivität unter anderem in Modellen hochgradiger Gliome. Daraus lässt sich jedoch noch keine klinische Wirksamkeit bei Kindern mit DIPG ableiten.

ONC206 ist weiterhin experimentell

Im Gegensatz zu Dordaviprone besitzt ONC206 keine Zulassung zur Behandlung von DIPG oder DMG.

Der Wirkstoff befindet sich weiterhin in einer frühen klinischen Entwicklungsphase.

Bei frühen Phase-I-Studien stehen zunächst insbesondere die Sicherheit, Verträglichkeit, geeignete Dosierung und Pharmakokinetik eines neuen Wirkstoffes im Vordergrund.

Aus dem bisherigen Entwicklungsstand kann deshalb noch nicht zuverlässig abgeleitet werden, ob ONC206 bei DIPG wirksam ist oder das Überleben verlängert.

ONC206 muss daher derzeit klar als experimenteller Wirkstoff betrachtet werden.

Kurz zusammengefasst

Dordaviprone (ONC201/Modeyso™) ist seit August 2025 in den USA für progressive H3-K27M-mutierte diffuse Mittelliniengliome ab einem Alter von einem Jahr beschleunigt zugelassen. Eine EU-Zulassung besteht derzeit nicht.

Für klassisches DIPG ist die Datenlage schwieriger: DIPG-Patienten waren sowohl aus der zentralen Wirksamkeitsanalyse für die FDA-Zulassung als auch aus der Phase-III-Studie ACTION ausgeschlossen. Gleichzeitig bestehen für DIPG Möglichkeiten eines Zugangs über Expanded-/Early-Access-Verfahren.

Für Familien in Deutschland ist außerdem wichtig zu wissen, dass eine fehlende EU-Zulassung eine Kostenübernahme durch die gesetzliche Krankenkasse nicht grundsätzlich ausschließt. Eine Ablehnung kann rechtlich überprüft und bei entsprechender Dringlichkeit gegebenenfalls im sozialgerichtlichen Eilverfahren angegriffen werden.

ONC206 befindet sich dagegen weiterhin in einer frühen klinischen Entwicklung und ist nicht zugelassen.

Stand 08/2026