

Morbus Pompe

Ein Jahrzehnt kausale Therapie

Morbus Pompe, auch „Glykogenose Typ II“ genannt, ist die schwerste Form der Glykogenspeichererkrankungen. Seit der Entwicklung der ersten und bisher einzigen Enzymersatztherapie (ERT) mit Alglucosidase alfa (Myozyme®), einer rekombinanten humanen sauren α -Glucosidase (rhGAA), vor zehn Jahren ist Morbus Pompe kausal therapierbar. Als Herausforderung bleibt die rechtzeitige Diagnostik. Die Erstmanifestation von Morbus Pompe ist in jedem Alter möglich, doch trifft er Kleinkinder besonders hart. „Bis zur Einführung der ERT haben Neugeborene mit dem infantilen Typ des Morbus Pompe oft nur wenige Monate überlebt“, erklärte Professor Andreas Hahn, Kinderneurologe an der Universität Gießen. Im Gegensatz zu Jugendlichen oder Erwachsenen, die bis zu 30 % Restaktivität an GAA aufweisen können, fehlt ihnen das Enzym gänzlich. In der Folge wird lysosomales Glykogen nicht zu Glukose abgebaut, akkumuliert vor allem im Muskelgewebe und führt zu irreversiblen Zell-, Gewebe- und Organschäden.

Als kausale Therapie ist die 14-tägige Infusionstherapie mit Alglucosidase alfa das Mittel der Wahl. Sie vermag ebenso

wie körpereigenes GAA das Glykogen in den Lysosomen hydrolytisch zu Glukose abzubauen und eine weitere Speicherung zu verhindern. Ohne Neugeborenen-screening erfolgt die Diagnosestellung nach Auftreten der ersten Symptome – bei Kindern im Mittel nach drei Monaten, bei Jugendlichen und Erwachsenen nach sieben Jahren. „Selbst Neurologen treffen nicht routinemäßig auf Patienten mit Morbus Pompe, der eine Inzidenz von 1:40.000 bis 1:200.000 aufweist“, betonte Professor Benedikt Schoser, Neurologische Klinik LMU München. Deshalb hat er zusammen mit Kollegen anhand von Leitsymptomen einen vereinfachten Diagnosealgorithmus für die Praxis entwickelt (Download: www.lysosolutions.de). Zur Sicherung der Diagnose durch Aktivitätsmessung des Enzyms GAA steht ein Trockenbluttest zur Verfügung. Mit Unterstützung von Sanofi-Genzyme kann er kostenfrei über Archimed Life Science GmbH angefordert werden.

Dr. Ellen Jahn, freie Medizinjournalistin

„10 Jahre Myozyme®: Blick auf die erste kausale Therapieoption für Morbus Pompe“, Frankfurt/M., 15.4.2016; Veranstalter: Sanofi-Genzyme

Ängstliche und depressive Verstimmung

Alltagskompetenz und Lebensqualität

Bei Patienten mit gleichzeitig vorliegender ängstlicher und depressiver Symptomatik ist das Lavendelöl Silexan® (Wirkstoff in Lasea®) wirksam: Sowohl die Symptomatik als auch die Alltagskompetenz und Lebensqualität verbessern sich signifikant. Dies ergab die randomisierte, placebokontrollierte Studie mit 318 Patienten mit ängstlich depressiver Verstimmung (ICD-10 41.2; Hamilton Angst Skala (HAMA) \geq 18 Punkte) [Kasper S et al. Eur Neuropsychopharmacol 2016; 26 (2): 331 – 40]. Die Patienten erhielten über zehn Wochen einmal täglich 80 mg des patentierten Lavendelöls oder Placebo. Mit Verum behandelte Patienten zeigten eine signifikant stärkere Verbesserung des HAMA-Scores (– 10,8 Punkte) als die

Placebogruppe (– 8,4). Auch die mittels Montgomery Åsberg Depression Rating Scale (MADRS) erhobenen Werte unterschieden sich signifikant zugunsten des Lavendelölpräparates (– 9,2 vs. – 6,1 Punkte). Die Patienten in der Lavendelölgruppe verbesserten sich in der Alltagskompetenz und Lebensqualität. Das Präparat war sehr gut verträglich, lediglich Aufstoßen wurde von 16 Patienten (10%) berichtet. Für Patienten mit gemischter ängstlicher und depressiver Verstimmung ist Silexan® eine wirksame und gut verträgliche Therapieoption, folgern die Autoren. eb

Nach Informationen des Unternehmens Dr. Willmar Schwabe

Neues Begleitprogramm für MS-Therapie

Bereits seit dem 1. Januar 2016 befinden sich die Therapiebegleitprogramme von Biogen für MS-Patienten unter einem gemeinsamen Dach: Bei GEMEINSAM STARK™ steht die ganzheitliche, individuelle Betrachtung des Patienten und seiner Bedürfnisse im Mittelpunkt. Kompetenten Rat geben MS-Schwester und -Pfleger sowie die persönlichen Ansprechpartner im MS-Service-Center. Digitale Hilfestellung bieten eine App sowie der Austausch mit anderen Patienten im Forum auf MS-life.de.

Nach Informationen von Biogen

Duloxetin generisch

Depressionen, generalisierte Angststörungen und Schmerzen bei diabetischer Polyneuropathie sind neurologische Erkrankungen, die die Lebensqualität der Betroffenen durch ihre starken Auswirkungen auf ihr berufliches und soziales Leben in hohem Maß beeinträchtigen. Mit Duloxetin Glenmark 30 mg und 60 mg steht ab sofort eine qualitätsvolle und preiswerte Therapieoption zur Behandlung dieser Krankheitsbilder zur Verfügung.

Nach Informationen von Glenmark

MS – Fortbildung interaktiv

Die Fortbildungsreihe „MSWerkstatt“ von Sanofi Genzyme fand kürzlich in Dresden zum 30. Mal statt. „Bei der MSWerkstatt geht es vor allem darum, Themen, die sich im alltäglichen Management der Multiplen Sklerose ergeben, zu diskutieren“, erläuterte Professor Tjalf Ziemssen, Dresden, der die Jubiläumsveranstaltung zusammen mit Professor Sven Schippling, Zürich, leitete. Die „MSWerkstatt“ legt Wert auf Aktualität, Interaktivität und Praxisrelevanz, wobei die Teilnehmer die Möglichkeit haben, klinisch relevante Fragestellungen in Workshops in kleinen Gruppen mit namhaften Experten zu erörtern.

Nach Informationen von Sanofi Genzyme