

Spinale Muskelatrophie

Erste praktische Erfahrungen mit neuem Antisense-Oligonukleotid

Seit Mai 2017 steht mit Nusinersen (Spinraza®) erstmals eine spezifische Option für die 5q-assoziierte Spinale Muskelatrophie (SMA) zur Verfügung. Nusinersen wird per Lumbalpunktion in den Spinalkanal gespritzt. Die praktischen Probleme im klinischen Alltag sind so komplex, dass sie sich nur durch interdisziplinäre Teamarbeit lösen lassen. Wie Dr. med. Claudia Wurster, Klinik für Neurologie, Universitätsklinikum Ulm, berichtete, haben einige Patienten bereits Skoliosen entwickelt und/oder sind an der Wirbelsäule operiert worden, was die Lumbalpunktion sehr erschweren kann. In Ulm wurden für die Lumbalpunktion bei SMA-Patienten spezielle standardisierte optimierte Prozeduren (SOP) entwickelt. Zur Sedierung und Analgesie trägt man bei Kindern und Jugendlichen in der Regel eine Stunde vor dem Eingriff eine Anästhesiesalbe mit Lidocain und Prilocain auf. Bei Jugendlichen und Erwachsenen hat sich eine lokale Infiltrationsanästhesie mit Mepivacain bewährt. Neben Nalbuphin und Novaminsulfon kommen bei agitierten Patienten Lorazepam und Midazolam zum Einsatz. Bei lang andauernden Eingriffen werden S-Ketamin und Pirritramid intravenös verabreicht.

Bei den 28 Patienten mit aktuell 113 Punktionen (im Bereich L2/3 bis L5/S1) gelang es in jedem Fall, Nusinersen zu verabreichen, so Wurster. Jedoch gab es eine große Spannweite bei der Dauer der Eingriffe – sie lag zwischen 20 Minuten

und drei Stunden. Es traten keine schwerwiegenden Komplikationen auf. Bei fünf Patienten kam es zum postpunktionellen Syndrom. Bei zwei Patienten mit sehr langer Punktionsdauer (ca. 3 Stunden) traten leichte intraspinale Blutungen ohne klinische Symptomatik auf. Bei der darauffolgenden Punktion war der Liquor xanthochrom.

Auch bezüglich der Beurteilung des Behandlungserfolges gibt es große Herausforderungen, erläuterte Professor Thomas Meyer, ALS-Ambulanz an der Charité Universitätsmedizin Berlin. Die traditionellen Endpunkte greifen zu kurz: Für diskrete motorische Effekte mit hohem individuellen psychosozialen Wert weisen sie eine zu geringe Sensitivität auf. Es sollten daher zusätzliche Outcome-Parameter etabliert werden. Um den Zusatznutzen des Medikaments besser beurteilen zu können, wurde das Projekt SMARTCARE initiiert. Professor Peter Claus, Institut für Neuroanatomie und Zellbiologie, Medizinische Hochschule Hannover stellte fest, dass sich trotz begrenzter Erfahrungen eine klare Korrelation abzeichnet: Je früher behandelt wird, desto besser ist die Prognose

Dr. Claudia Bruhn, freie Medizinjournalistin

Symposium „Neue Perspektiven in der Therapie der Spinalen Muskelatrophie (SMA)“, Jahrestagung der Deutschen Gesellschaft für Klinische Neurophysiologie und Funktionelle Bildgebung (DGKN), Berlin, 15. 3. 2018; Veranstalter: Biogen

Myasthenia gravis

Evidenzbasierte Therapie der refraktären AChR-positiven gMG

Eine kleine Gruppe von Patienten mit Anti-Acetylcholinrezeptor (AChR)-positiver generalisierter Myasthenie ist therapierefraktär und hat ein hohes Risiko für myasthene Krisen. Für diese Patienten besteht ein hoher Bedarf an neuen Therapieoptionen, erläuterte Privatdo-

zentin Dr. Christiane Schneider-Gold, Oberärztin an der Klinik für Neurologie, St. Josef-Hospital in Bochum.

Die generalisierte Myasthenia gravis (gMG) ist eine Autoimmunerkrankung mit chronisch progredientem Verlauf. Die meisten Patienten weisen Autoanti-

LIBERTY für Migrärepatienten

In der Phase-IIIb-Studie LIBERTY, der ersten Studie zur Migräneprophylaxe mit Anti-CGRP-Wirkstoff, die speziell zur Wirksamkeit und Sicherheit von AMG 334 (Erenumab) 140 mg bei mehrfach erfolglos vorththerapierten (zwei bis vier frühere prophylaktische Therapien) Patienten mit episodischer Migräne durchgeführt wurde, erreichte Erenumab alle primären und sekundären Endpunkte. Signifikant mehr Patienten unter AMG 334 vs. Placebo erreichten eine Reduktion der monatlichen Migränetage um 50%. *red*

Nach Informationen von Novartis

Armspastik unabhängig von Ätiopathogenese

Das einzige komplexproteinfreie Botulinum Neurotoxin Typ A-Präparat Xeomin® (IncobotulinumtoxinA) kann nach einer Zulassungserweiterung nun unabhängig von der zugrunde liegenden Ätiologie zur symptomatischen Behandlung von Spastiken der oberen Extremitäten bei Erwachsenen mit einer Gesamtdosis von bis zu 500 Einheiten angewendet werden. Neben verschiedenen spastischen Mustern, wie der besonders häufig auftretenden Ellbogenbeugung, gefausteten Hand oder Handgelenkbeugung, umfasst die neue Zulassung auch die Behandlung der spastischen Schulter beziehungsweise der betroffenen Schultermuskulatur. Grundlage der Zulassung sind die Ergebnisse der prospektiven TOWER-Studie [Wissel et al. *Neurology* 2017; 88 (14): 1321–8], in der zum ersten Mal die Sicherheit und Wirksamkeit von bis zu 800 Einheiten Xeomin® bei einer Hemispastik systematisch untersucht wurde. Hierbei konnten bis zu 600 Einheiten Xeomin® allein in die obere Extremität einschließlich der Schultermuskulatur appliziert werden. Im Ergebnis zeigte die Studie, dass die schrittweise Erhöhung der Gesamtdosis es ermöglichte, mehr spastische Muster zu behandeln und mehr individuelle Therapieziele zu erreichen ohne das Risiko für Nebenwirkungen zu erhöhen. *red*

Nach Informationen von Merz