

## Nutzenbewertung für Oromukosalspray bei Spastik

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat den Beschluss zur Nutzenbewertung des cannabinoidhaltigen Oromukosalsprays Sativex® veröffentlicht. Darin bescheinigt er Sativex® einen Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen für die mittelschwere bis schwere Multiple Sklerose-induzierte Spastik *red*

Nach Informationen von Almirall

## Zusatztherapie bei LGS

Die Europäische Kommission hat die Zulassung des Antiepileptikums Inovelon® (Wirkstoff: Rufinamid) als Zusatztherapie für die Behandlung von Anfällen bei Lennox-Gastaut-Syndrom (LGS) auf Patienten ab einem Jahr erweitert. LGS ist eine der schwersten und behandlungsschwierigsten Epilepsieförmen mit Beginn im Kindesalter und erfordert oft die Einnahme mehrerer Antiepileptika in Kombination. *red*

Nach Informationen von Eisai

## Vier Jahre pegyliertes Interferon

Mit Peginterferon beta-1a (Plegridy®) steht seit vier Jahren das erste pegylierte Interferon beta-Präparat zur Behandlung von Patienten mit schubförmig remittierender Multipler Sklerose (RRMS) zur Verfügung. Studiendaten belegen mittlerweile den langfristigen klinischen Nutzen des Arzneimittels: 84,7% der Patienten blieben über fünf Jahre ohne Behinderungsprogression. Ergebnisse einer indirekten Vergleichsstudie zeigen zudem einen signifikant geringeren Anteil von Patienten mit Behinderungsprogression über zwei Jahre im Vergleich zu einer dreimal wöchentlichen Gabe von Interferon beta-1a (s. c.) [Coyle PK et al. AAN 2017; Poster P63]. Patientenfreundliche zweiwöchentliche Applikationsintervalle ermöglichen mehr Flexibilität und können gemeinsam mit dem positiven Nutzen-Risiko-Profil zur Patientenadhärenz beitragen. *red*

Nach Informationen von Biogen

## Hereditäre Transthyretin-Amyloidose

# Neue Behandlungsoption verfügbar

Das Problem bei seltenen Erkrankungen ist, dass man sie nicht im Blick hat und sie dadurch einer frühzeitigen Erkennung und Behandlung entgehen. Beispielhaft dafür ist die hereditäre Transthyretin-Amyloidose (hATTR), ein autosomal dominant mit variabler Penetranz vererbter Defekt der Proteinfaltung.

Die Erkrankung geht mit einer progressiven Polyneuropathie (PNP) einher. Da diese vom distal-symmetrischen Verteilungstyp ist und neben sensiblen und motorischen auch autonome Fasern betrifft, wird sie häufig mit diabetischer Neuropathie oder der chronisch inflammatorischen demyelinisierenden Polyradikuloneuropathie (CIDP) verwechselt. „Eine hATTR fällt oft durch eine schnelle Krankheitsprogression auf“, erklärte Professor Ulrich Dillmann, Neurologische Universitätsklinik, Homburg/Saar. Da die hATTR neben dem Nervensystem häufig auch andere Organsysteme befallt, sei unter anderem auf begleitende gastrointestinale, kardiale und renale Symptome zu achten. Auch Gewichtsverlust oder Linsentrübungen können auf die richtige Fährte führen.

Patienten mit hATTR haben ohne Behandlung eine durchschnittliche Lebenserwartung von drei bis 15 Jahren. Manifestiert sich die Erkrankung als Kardiomyopathie, ist die Mortalität besonders hoch. Vor der Entwicklung der ersten medikamentösen Therapien war die Lebertransplantation die einzige Behandlungsoption. Seit 2011 steht die kleinmo-

lekulare Substanz Tafamidis zur Verfügung. Seit Oktober ist das Antisense-Oligonukleotid Inotersen (Tegsedi®) neu auf dem Markt.

Professor Matthias Schilling, Leitender Oberarzt an der Klinik für Neurologie, Universitätsklinikum Münster, berichtete aus der zulassungsrelevanten Studie zu Inotersen. 172 hATTR-Patienten mit Polyneuropathien der Stadien 1 und 2 haben daran teilgenommen. Die Patienten wurden randomisiert doppelblind mit wöchentlichen s. c.-Injektionen Inotersen oder Placebo behandelt. Unter der Behandlung mit Inotersen nahm die Neuropathie und die damit assoziierte Einschränkung der Lebensqualität signifikant weniger zu als unter Placebo.

Fünf Patienten der Inotersen-Gruppe verstarben während der Behandlung, in der Placebogruppe traten keine Todesfälle auf. Die häufigsten schweren unerwünschten Ereignisse unter Inotersen waren Glomerulonephritis (3%) und Thrombozytopenie, eines davon mit tödlichem Verlauf. Nach diesem Ereignis wurden die Blutbildkontrollen intensiviert [Benson et al. N Engl J Med 2018;379:22–31].

*Dr. Thomas Heim, freier Medizinjournalist*

Industriesymposium „Wenn die Nerven schmerzen und das Herz schwächelt – eine neue Therapieoption bei der hATTR Amyloidose“, Neurowoche 2018 in Berlin, 31.10.2018; Veranstalter: AKCEA Therapeutics

## Vorhofflimmern bei Niereninsuffizienz

# Was ist bei der oralen Antikoagulation zu beachten?

Vorhofflimmern ist bei Niereninsuffizienz sehr häufig – und damit auch die Indikation für eine orale Antikoagulation. Der Wahl des am besten geeigneten Antikoagulans und der richtigen Dosierung kommt hier eine hohe Bedeutung zu.

10 – 25% der Patienten mit Niereninsuffizienz leiden unter Vorhofflimmern

(VHF), und ihr Risiko für thromboembolische Komplikationen sowie für Blutungen ist deutlich höher als bei nierengesunden Patienten mit VHF, erklärte Professor Martin Gross, niedergelassener Internist aus München. Vitamin-K-Antagonisten (VKA) sind bei manifester Niereninsuffizienz in Deutschland nicht