

Spinale Muskelatrophie

## Altersphysiologische Entwicklung ist möglich

Innovative Therapien wie die Genersatztherapie Onasemnogen-Abeparvovec und die Aufnahme der Spinalen Muskelatrophie (SMA) in das Neugeborenen-Screening (NGS) ermöglichen eine präsymptomatische kausale Therapie, die zu einer altersgemäßen Entwicklung führen kann.

Dass sich ein präsymptomatischer Therapiebeginn positiv auswirken kann, verdeutlichte die Neuropädiaterin PD Dr. Sabine Illsinger an einem Fallbeispiel aus der Kinderklinik in Hannover. Das reifegeborene Mädchen fiel beim Erstkontakt in einem Screening-Labor auf und wurde an ihrem elften Lebenstag in der Neuropädiatrie vorgestellt. Nachdem sich die SMA (mit drei SMN2-Kopien) bestätigt hatte, wurde das Mädchen im Alter von

27 Tagen mit Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma®) behandelt. Die Therapie verlief ohne Komplikationen und mit fünf Monaten zeigt das Mädchen eine altersphysiologische Entwicklung. Dass eine frühestmögliche Behandlung anzustreben sei, betonte auch die Neuropädiaterin PD Dr. Katharina Vill von der LMU München, da einige Kinder bereits bei der Geburt SMA-spezifische Symptome aufweisen könnten.

Auch ältere, vorbehandelte Kinder können von der Umstellung auf Onasemnogen-Abeparvovec profitieren. Das zeigt der Fall eines Jungen, der mit 38 Monaten von Nusinersen umgestellt wurde. Seine motorische Entwicklung verlief weiterhin positiv, zusätzlich besetzten sich jedoch seine Kau- und

Schluckbeschwerden und er hatte deutlich seltener Bronchitiden.

Die Ergebnisse der Phase-III-Studie SPRINT mit Patientinnen und Patienten mit präsymptomatischer SMA bestätigen die guten klinischen Erfahrungen [Strauss KA et al. Nat Med. 2022; 28: 1381-9]. Alle im Alter von unter sechs Wochen mit Onasemnogen-Abeparvovec behandelten Kinder konnten mit 18 Monaten für mindestens 30 Sekunden unabhängig sitzen, 79 % konnten für mindestens drei Sekunden selbstständig stehen und 64 % gingen mindestens fünf Schritte selbstständig. Keines der Kinder benötigte eine Atem- und Ernährungsunterstützung. Es traten keine schwerwiegenden, behandlungsbedingten unerwünschten Ereignisse auf und alle Kinder waren im Alter von 14 Monaten am Leben.

*Dr. Marion Hofmann-Abmus*

Symposium „Spotlight SMA – Update zu Diagnose, Gentherapie und Versorgung der Spinalen Muskelatrophie“, Neurowoche 2022, 4.11.2022; Veranstalter: Novartis Gene Therapies

Neuropsychiatrische Symptome bei Demenz

## Medizinisches Cannabis in Pilotstudie wirksam

Neuropsychiatrische Symptome treten bei fast 90 % der Patientinnen und Patienten mit Demenz auf. Sie verringern ihre Lebensqualität und die ihres Umfelds deutlich, sind bislang aber medikamentös kaum behandelbar. Als therapeutische Perspektive wurde im Rahmen der ZNS-Tage in Köln medizinisches Cannabis vorgestellt.

So hat eine israelische Arbeitsgruppe bei der Suche nach neuen Behandlungsoptionen zur Reduktion von Agitation, aggressivem Verhalten, Reizbarkeit und Schlafstörungen bei Patientinnen und Patienten mit Demenz erste Fortschritte erzielt. Denn Ergebnisse einer kleinen placebokontrollierten Doppelblindstudie deuten darauf hin, dass CBD-reiche Cannabis-Vollspektrumextrakte unter anderem demenzbedingte Agitiertheit lindern könnten [Hermush V et al. Front Med (Lausanne). 2022; 9:951889]. In die Studie eingeschlossen wurden 60 Patientinnen und Patienten im Alter von

mindestens 60 Jahren mit diagnostizierter schwerer neurokognitiver Störung und damit verbundenen Verhaltensstörungen. Im Vorfeld wurde anhand des Cohen Mansfield Agitation Inventory Scores (CMAI) der Gesamtwert ihrer Agitiertheit ermittelt und als primärer Studienendpunkt eine Verringerung des CMAI um vier Punkte oder mehr bis Woche 16 definiert. Die Studienteilnehmenden erhielten über 16 Wochen im Verhältnis 2 : 1 entweder dreimal täglich ein Cannabis-Vollspektrumextrakt mit breitem Wirkspektrum (30 % Cannabidiol [CBD] und 1 % Tetrahydrocannabinol [THC]: 295 mg bzw. 12,5 mg pro ml; n = 40) oder ein Placebo-Öl (n = 20). 52 Patienten schlossen die Studie ab, alle Studienabbrüche betrafen die Verumgruppe. In dieser gingen die Schlafstörungen und die CMAI-Werte für Agitiertheit und Aggression gegenüber der Placebogruppe jeweils signifikant zurück, berichtete die Studienleiterin Dr.

Lih Bar-Lev Schleider, Leiterin der Forschungs- und Entwicklungsabteilung des Unternehmens Tikun Olam-Cannabit, Tel Aviv, Israel. Als unerwünschte Wirkungen seien leichte Schläfrigkeit, Verwirrung und Orientierungslosigkeit aufgetreten. Da die Effekte erst in der 14. Woche deutlich wurden, riet die Expertin zur Geduld bei dieser hauptsächlich CBD-basierten Therapie.

In Deutschland ist das in der Studie verwendete medizinische Cannabis unter der Marke Re:Cannibis von Fette Pharma erhältlich. Dabei handelt es sich um standardisierte Cannabis-Vollspektrumextrakte und getrocknete Cannabisblüten in verschiedenen Wirkstoffkonzentrationen. Zur Erleichterung des Praxisalltags bietet Fette eine „Kitteltaschenkarte“ mit einem übersichtlichen Auswahl- und Dosierschema je Indikation und Symptom an.

*Ute Ayazpoor*

Symposium „Neue Perspektiven bei der Behandlung von Demenzpatienten: Ergebnisse einer placebokontrollierten Doppelblindstudie mit medizinischem Cannabis aus Israel“, ZNS-Tage Köln, 24.3.2023; Veranstalter: Fette Pharma