

und Gehirns. Die meisten Betroffenen sind weiblich und leiden unter unvorhersehbaren Schüben, die mit einer neu auftretenden neurologischen Symptomatik oder deren Verschlechterung einhergehen [Wingerchuk DM et al. *Curr Treat Options Neurol.* 2008;10(1):55-66]. „Bei NMOSD möchte man keinen einzigen Schub erleben,“ sagte Prof. Dr. Achim Berthele, leitender Oberarzt der Klinik und Poliklinik für Neurologie an der TU München, Klinikum rechts der Isar. Daher komme einer effektiven Schubprophylaxe eine wichtige Rolle zu.

Mit Ravulizumab (Ultomiris®) wurde kürzlich der erste langwirksame C5-Komplementinhibitor zur Behandlung von Erwachsenen mit AQP4-Antikörperpositiven NMOSD in der EU zugelassen. „Ravulizumab macht sich durch die Bindung an neonatale Fc-Rezeptoren das pharmazeutische Prinzip des Antikörper-Recyclings zunutze. Somit kann über einen längeren Zeitraum der Antikörperspiegel aufrechterhalten werden,“ erläuterte Berthele. Die Zulassung basiert auf

der Phase-III-Studie CHAMPION-NMOSD [Pittock SJ et al. *Ann Neurol.* 2023;93(6):1053-68], die Ravulizumab mit bereits vorliegenden Daten aus dem externen Placeboarm der PREVENT-Studie [Pittock SJ et al. *N Engl J Med.* 2019;381(7):614-25] verglich.

Auf der PREVENT-Studie basiert die Zulassung des Antikörpers Eculizumab zur NMOSD-Therapie. „Eine neue Placebogruppe wäre bei den schweren Folgen eines möglichen Schubes nicht vertretbar,“ so der Experte. Über einen Beobachtungszeitraum von 117 Wochen blieben die Studienteilnehmenden unter der Therapie mit Ravulizumab zu 100% schubfrei (►Abb. 1). Die Gabe ist alle acht Wochen vorgesehen. „Wir haben damit ein neues Instrument, um hochaktiv zu handeln,“ meinte Berthele. *Martha-Luise Storre*

Launch-Presskonferenz, „Hochwirksame Therapieoption für AQP4+ NMOSD-Patient:innen: Neu zugelassener C5-Komplementinhibitor Ravulizumab zeigt Evidenz für Schubfreiheit mit bewährtem Sicherheitsprofil“, 14.6.2023; Veranstalter: Alexion

## I.v. Immunglobuline

# Neues IVIG aus nachhaltiger Produktion

Im November 2022 ist ein neues I.v. Immunglobulin (IVIG) der Biotest AG (Yimmugo®) in Deutschland zugelassen worden, das zur Substitutionstherapie bei primären (PID) und sekundären Immunmangelsyndromen (SID) sowie zur Immunmodulation (z. B. beim Guillain-Barré-Syndrom, primärer Immuntrombozytopenie oder chronisch-entzündlicher demyelinisierender Polyneuropathie [CIDP]) indiziert ist. Wie Dr. Jörg Schüttrumpf, Vorstand für Medizin und Wissenschaft bei Biotest, erläuterte, werde das neue IVIG in einer Produktionsanlage hergestellt, die im Hinblick auf Nachhaltigkeit neue Maßstäbe setze und einen Meilenstein auf dem Weg zur Klimaneutralität darstelle.

In der zulassungsrelevanten, multizentrischen Phase-III-Studie erhielten 67 Patientinnen und Patienten mit PID im Alter von zwei bis <76 Jahren über etwa zwölf Monate alle drei oder vier Wochen das neue IVIG in Dosierungen von 0,2–0,8 g/kg Körpergewicht. Laut Dr. Christiane Staiger, ebenfalls von Biotest, hat-

ten alle Erkrankten bereits zuvor IVIG bekommen. Primärer Endpunkt war, wie von der FDA gefordert, die Zahl der akuten, schwerwiegenden bakteriellen Infektionen (SBI) pro Patientenjahr. Lediglich in einem Fall trat eine SBI auf – eine Pneumonie nach Reflux-bedingter Aspiration. Die SBI-Rate von 0,01 lag weit unter der Forderung von FDA und EMA von <1 SBI pro Patientenjahr [Kriván G et al. *Vox Sang.* 2022;117:1153-62]. Sekundäre Endpunkte wurden ebenfalls definiert, die Ergebnisse waren in allen Altersgruppen ähnlich ausgeprägt.

Arzneimittelrisiken wie thromboembolische Ereignisse wurden nicht beobachtet. Unerwünschte Arzneimittelwirkungen waren meist Kopfschmerzen oder Fatigue. Infusionsassoziierte unerwünschte Ereignisse traten nur bei 8% der Infusionen auf.

*Dr. Günter Springer*

Launch-Presskonferenz, „Pressekonferenz trifft Eco-Art“, 1.6.2023, Dreieich; Veranstalter: Biotest

## Glatirameracetat als „unentbehrlich“ eingestuft

In die WHO-Liste der unentbehrlichen Arzneien sind erstmalig auch MS-Therapien aufgenommen worden, darunter mit Glatirameracetat (Copaxone®) auch ein Basistherapeutikum. *red*

Nach Informationen von Teva

## Eculizumab auch für Kinder ab 6 Jahren mit Myasthenie

Die EU hat den Antikörper Eculizumab (Soliris®) für die Behandlung der refraktären generalisierten Myasthenia gravis bei Kindern und Jugendlichen ab sechs Jahren zugelassen, die Anti-Acetylcholinrezeptor-Antikörper-positiv sind. Basis sind die Ergebnisse einer Phase-III-Studie, in der für Eculizumab eine signifikante Verbesserung des primären Endpunkts (Veränderung des Quantitative Myasthenia Gravis-Gesamtscores in Woche 26 gegenüber dem Ausgangswert [-5,8; 95%-KI -8,4 bis -3,13; p=0,0004]) gezeigt wurde [Brandsema JF, *AAN* 2023, S5.009]. *red*

Nach Informationen von Alexion

## Risdiplam von Geburt an

Der Spleißmodifikator Risdiplam (Evrysidi®) ist zur Behandlung der 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Patientinnen und Patienten mit einer klinisch diagnostizierten Typ 1-, Typ 2- oder Typ 3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens für alle Altersgruppen ab Geburt zugelassen worden, teilt Hersteller Roche mit. Grundlage waren die Ergebnisse einer Interimsanalyse der Studie RAINBOWFISH, die die Effekte des Therapeutikums auf 18 präsymptomatische Neugeborene untersuchte. Alle 6 Babys mit 2–3 SMN2-Genkopien konnten bis zum Ende des ersten Lebensjahres frei sitzen. Frühere Studien ergaben ein ähnliches Sicherheitsprofil. Für Kinder unter 2 Monaten wird die reduzierte Dosis von 0,15 mg/kg empfohlen. *red*

Nach Informationen von Roche