

Morbus Pompe mit später Verlaufsform

Miglustat und Cipaglusidase alfa als neue Therapieoption

Seit dem 1. August 2023 ist mit Miglustat und Cipaglusidase alfa eine neue Therapiemöglichkeit für M. Pompe verfügbar. Die Europäische Kommission hat in diesem Jahr zunächst die Langzeit-Enzymersatztherapie (ERT) Cipaglusidase alfa (Pombiliti®) und anschließend den Enzymstabilisator Miglustat (Opfolda®) zugelassen. Die Zwei-Komponenten-Therapie ist indiziert bei Erwachsenen mit der späten Verlaufsform des M. Pompe (late-onset Pompe disease, LOPD). Der Bedarf an neuen Therapieoptionen ist hoch, betonte Prof. Dr. Wolfgang Löscher, Universitätsklinik für Neurologie, Innsbruck. Denn bei vielen LOPD-Patientinnen und Patienten, die anfangs von der herkömmlichen Behandlung mit Alglucosidase alfa profitieren, verschlechtern sich die Gehfähigkeit und die Lungenfunktion nach drei bis fünf Jahren [Harlaar L et al. *Neurology*. 2019;93(19):e1756-67].

Die Phase-III-Studie PROPEL verglich Cipaglusidase alfa in Kombination mit Miglustat mit der ERT Alglucosidase alfa bei 122 mehrheitlich ERT-vorbehandelten LOPD-Patienten [Schoser B et al. *Lancet Neurol*. 2021;20(12):1027-37].

Beim primären Endpunkt, der Sechs-Minuten-Gehstrecke, wurden unter der neuen Therapie im Schnitt 11,7 Meter mehr erreicht, die forcierte Vitalkapazität zeigte im Vergleich zur Baseline nach 52 Wochen einen klinisch relevanten Unterschied gegenüber der Alglucosidase-alfa-Kohorte (mittlere Veränderung: -1,4 % vs. -3,7 %). Hinsichtlich der körperlichen Funktionsfähigkeit sowie der Fatigue, erhoben anhand des Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS), zeigte sich ein nicht signifikanter Vorteil der neuen Therapie gegenüber Alglucosidase alfa. Gleiches galt für den manuellen Muskeltest der unteren Extremität. „Wenn eine Stabilisierung und dann noch eine anhaltende Verbesserung bei einzelnen Patienten eintritt, haben wir schon sehr viel erreicht“, betonte Prof. Benedikt Schoser, Neurologische Klinik und Poliklinik, LMU München. *Dr. Marion Hofmann-Aßmus*

Pressekonferenz „Neue Therapieoption für erwachsene Patient:innen mit Morbus Pompe der späten Verlaufsform“, 13.7.2023, München; Veranstalter: Amicus Therapeutics

Herausforderungen in der psychiatrischen Versorgung

ADHS und Transidentität

Psychiatrisch Tätige sind in der Praxis vermehrt mit Identitätsproblemen ihrer Patientinnen und Patienten konfrontiert. Das Thema werde deshalb auch in Fachkreisen sehr intensiv diskutiert, erläuterte Prof. Dr. Florian Zepf, Universitätsklinikum Jena, auf der von Takeda ausgerichteten Fortbildungsveranstaltung „FOKUS ADHS“ 2023.

Zu dem Zusammenhang von Transidentität und ADHS liegen zwar derzeit nur wenige Studien vor, es gibt jedoch Hinweise auf eine erhöhte ADHS-Prävalenz bei Personen, die aufgrund einer Geschlechtsdysphorie medizinische Hilfe in Anspruch nehmen. In einer retrospektiven australischen Studie, die Neuüber-

weisungen, soziodemografische und klinische Charakteristika sowie medizinische und psychiatrische Diagnosen bei transidenten Personen untersuchte, zeigte sich, dass 4,3 % der Personen mit Transidentität von ADHS betroffen waren [Cheung AS et al. *Transgend Health*. 2018;3(1):229-38]. In der australischen Gesamtpopulation lag die ADHS-Prävalenz hingegen bei circa 1,1 %. Im klinischen Alltag sollte deshalb darauf geachtet werden, psychische oder psychiatrische Symptome bei Transidentität nicht ausschließlich im Konzept der Transidentität zu betrachten“, warnte Zepf. *red*

Nach Informationen von Takeda

Festbetrag für Milnacipran und Desvenlafaxin

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat die Produkte Desveneurax® (Desvenlafaxin) und Milnaneurax® (Milnacipran) zum 1. Oktober 2023 in eine Festbetragsgruppe der Stufe 2 für selektive Serotonin-Noradrenalin-Wiederaufnahme-Inhibitoren in oralen Darreichungsformen eingegliedert. Der angestrebte Festbetrag für Desvenlafaxin liege jedoch unter den Herstellungskosten, wie der Hersteller neuraxpharm mitteilt. Daher sei es wirtschaftlich nicht realisierbar, den Preis auf das Niveau anderer Festbetragsarzneimittel zu senken, da dies die Fähigkeit von neuraxpharm zur Bereitstellung hochwertiger Generika sowie innovativer Arzneimittel gefährden würde. Um die Versorgung mit Desvenlafaxin dennoch weiterhin zu gewährleisten, hat sich neuraxpharm entschlossen, das Produkt nicht vom Markt zu nehmen. Ein Folge der G-BA-Entscheidung ist allerdings, dass Patientinnen und Patienten künftig eine höhere Zuzahlung leisten müssen. *red*

Nach Informationen von neuraxpharm

Zilucoplan bei gMG mit positivem CHMP-Votum

Das Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) hat eine positive Stellungnahme für die Zulassung von Zilucoplan bei generalisierten Myasthenia gravis (gMG) abgegeben. Die Entscheidung basiert auf der pivotalen Phase-III-Studie RAISE, in der die Behandlung von erwachsenen, AChR-Antikörper-positiven gMG-Betroffenen mit Zilucoplan zu statistisch signifikanten und klinisch bedeutsamen Verbesserungen führte [Howard JF Jr et al. *Lancet Neurol*. 2023;22(5):395-406]. Bei Zilucoplan handelt es sich um einen einmal täglich subkutan zu verabreichenden C5-Inhibitor zur Selbstapplikation. Die positive Stellungnahme des CHMP wird nun von der Europäischen Kommission geprüft. Eine Rückmeldung wird noch vor Ende des Jahres erwartet. *red*

Nach Informationen von UCB