

# Spinale Muskelatrophie deutlich gelindert

## Erste Einmal-Gentherapie zugelassen

Spinale Muskelatrophien (SMA) sind seltene, schwerwiegende neuromuskuläre Erkrankungen, die überwiegend autosomal-rezessiv vererbt werden. Wie Prof. Janbernd Kirschner, Bonn, erläuterte, führt die 5q-assoziierte SMA Typ 1, die schwerste und insgesamt häufigste Form der Erkrankung, unbehandelt bei mehr als 90% der Patienten aufgrund einer Atemmuskelschwäche und einer Schluckstörung innerhalb der ersten zwei Lebensjahre zum Tod oder zur Notwendigkeit einer ständigen Beatmung.

### **Transformatives Behandlungskonzept**

Onasemnogen abeparvovec (Zolgensma®) ist eine Einmal-Gentherapie, die an der genetischen Ursache der SMA ansetzt. Mittels eines Adenovirus-assoziiert

ten Virusvektors wird ein Stück komplementäre DNA, die für das SMN1-Protein kodiert, durch eine einzige intravenöse Infusion über die Blut-Hirn-Schranke in die motorischen Vorderhornzellen eingeschleust. „Auf diese Weise wird das genetisch veränderte und damit funktionslose Gen ersetzt, was den Krankheitsfortschritt aufhält. Das Erbgut der Patienten bleibt unverändert“, erläuterte Dr. Andreas Ziegler, Abteilung Kinderneurologie am Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin am Universitätsklinikum Heidelberg, das Prinzip der Methode.

### **Altersgerechte motorische Meilensteine erreicht**

In verschiedenen klinischen Studien hat Onasemnogen abeparvovec sowohl bei Patienten mit präsymptomatischer als

auch symptomatischer SMA einen bedeutsamen therapeutischen Nutzen bei einem günstigen Sicherheitsprofil gezeigt. Insbesondere wurden ein längeres ereignisfreies Überleben, definiert als Tod oder permanente Beatmung) und eine rasche – oft innerhalb eines Monats nach der Behandlung einsetzende – Verbesserung der Motorik erzielt. „Besonders bemerkenswert ist das dauerhafte Erreichen altersgerechter motorischer Meilensteine, einschließlich der Fähigkeit, ohne Unterstützung zu sitzen – also von Entwicklungsschritten, die bei unbehandelten Patienten mit SMA Typ 1 nie erreicht werden konnten“, betonte Ziegler.

*Dr. Silke Wedekind*

**Quelle:** Webstream-Presskonferenz „Erste Einmal-Gentherapie für Patienten mit spinaler Muskelatrophie (SMA)“, 9. Juni 2020 (Veranstalter: AveXis)

# Glukose messen, nicht „schätzen“

## Typ-1-Diabetes

Für viele Menschen mit Diabetes gehört die klassische Blutzuckermessung zum Alltag und bildet die Basis ihrer Diabetes-therapie. Doch u. a. Medikamente können die Ergebnisse verfälschen. Die Blutzuckerwerte erscheinen dann zu niedrig oder zu hoch, was zu therapeutischen Fehlentscheidungen führt. Nach der Erfahrung von Dr. Oliver Schubert-Olesen, Buxtehude, kann schon eine Abweichung des Messergebnisses um 10% zu schweren Dosierungsfehlern des Insulins führen. Viele Messsysteme sind nach Schubert-Olesen eher „Schätz“systeme. 95% der gemessenen Blutzuckerwerte liegen inner-

halb eines Toleranzbereichs von  $\pm 15$  mg/dl bzw.  $\pm 15\%$ , was der ISO-Norm entspricht. Das sei aber zu ungenau. Auch müssten weit mehr als die nach ISO-Norm geforderten 20 Strsubstanzen getestet sein. Lipidsenker, Blutdrucksenker und Antiinfektiva sind in der ISO-Norm nicht gefordert. Patienten, die diese Medikamente einnehmen, sollten daher ein Messgerät wie Accu-Chek® Guide benutzen, das eine hohe Messgenauigkeit und mit über 200 getesteten Störsubstanzen die ausführlichste Interferenztestung auf dem Markt bietet. *red*

**Quelle:** Nach Informationen von Roche

## **Kurz notiert**

### **Bundesverband pharmazeutischer Cannabinoidunternehmen gegründet**

Der Verband steht seinen Mitgliedern als Forum für Information, Austausch und Meinungsbildung im Bereich Medizinalcannabis zur Seite. Er vertritt gemeinsame Interessen und vermittelt Standpunkte gegenüber Gesetzgebung, Verwaltung sowie Öffentlichkeit. Zu den Gründungsmitgliedern gehören Cannaflos, Cannamedical Pharma, DEMECAN, GECA Pharma, HM Herba Medica, Nimbus Health, Paesel + Lorei, Sanity Group und THCinol/CBDinol CanPharma.

Als zentrales Ziel geben die neun Gründungsunternehmen eine sichere Patientenversorgung mit hochwertigen, cannabinoidhaltigen Arzneimitteln an. Um dies zu erreichen, arbeitet der Bundesverband eng mit Schlüsselakteuren aus Politik, Selbstverwaltung, Wirtschaft und Wissenschaft zusammen. *red*

**Quelle:** Nach Informationen des Bundesverbands pharmazeutischer Cannabinoidunternehmen