

# Gentherapie bei schwerer Hämophilie A zugelassen

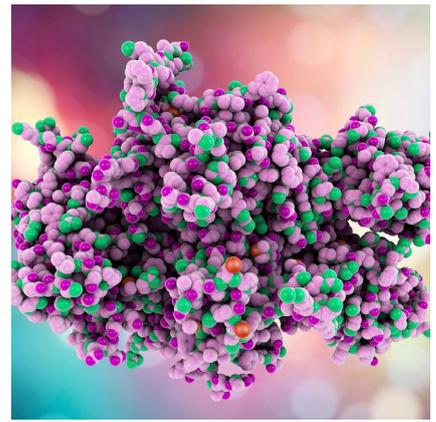
## Weitgehende Blutungsfreiheit als Ziel

Ende August 2022 erhielt die Einmaltherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec (Roctavian®) die EU-Zulassung zur Behandlung von Erwachsenen mit schwerer Hämophilie A. Diese wird durch einen Mangel an dem Gerinnungsfaktor VIII verursacht. Prof. Johannes Oldenburg, Direktor des Instituts für Experimentelle Hämatologie und Transfusionsmedizin und des Hämophiliezentriums Bonn, sieht in der Gentherapie für einige Menschen mit schwerer Hämophilie A die Chance, über mehrere Jahre einen ausreichenden protektiven Gerinnungsfaktorspiegel zu erreichen.

Das Gentherapeutikum besteht aus einem Adeno-assoziierten Virus (AAV5),

das die komplementäre DNA des Blutgerinnungsfaktors VIII enthält. Nach der intravenösen Verabreichung transportiert das Virus diese DNA in die Leberzellen, wo der Faktor VIII über einen langen Zeitraum gebildet werden kann. Für die Therapie kommen Patienten mit Hämophilie A ohne Faktor-VIII-Inhibitoren in der Vorgeschichte und ohne nachweisbare Antikörper gegen AAV5 infrage.

In der Phase-III-Studie GENER8, an der 134 Männer mit schwerer Hämophilie A teilnahmen, nahm die durchschnittliche Häufigkeit der Blutungsereignisse nach einmaliger Gabe von Valoctocogen Roxaparvovec signifikant um 84% ab [1].



Etwa ein Jahr nach der Behandlung war die durchschnittliche Faktor-VIII-Aktivität immer noch um 42 IE/dl höher als vor Studienbeginn.

Die häufigsten unerwünschten Ereignisse waren Kopfschmerzen (38%), Übelkeit (37%) und erhöhte Aspartat-Aminotransferase-Werte (35%). Bei keinem der Teilnehmer kam es zur Entwicklung von Thrombosen.

Dr. Ellen Jahn

**Quellen:** [1] Ozelo MC et al. N Engl J Med. 2022;386:1013–25; Pressekonferenz „Neue Perspektive: Roctavian® - Erste Gentherapie für Erwachsene mit Hämophilie A“, 14. September 2022 (Veranstalter: BioMarin)

# Antikörper für die Migräneprophylaxe

## Wenn andere Optionen nicht wirken

Menschen mit Migräne tragen eine hohe Krankheitslast, werden häufig jedoch nicht optimal versorgt. Das zeigte eine bundesweite, telefonische Querschnittsbefragung [1]. Demnach suchten nur 40,6% der Frauen mit Migräne und 38,5% der betroffenen Männer im letzten Jahr eine ärztliche Behandlung.

Dr. Borries Kukowski vom NeuroCentrum Hildesheim berichtete von einer Patientin, die sich über Jahre mehr schlecht als recht selbst behandelte. Das habe sich erst geändert, als sie nach vielen Jahren endlich eine leitliniengerechte Therapie erhielt. „Wie vom G-BA vorgegeben haben wir alle vorgeschriebenen Prophylaktika ausprobiert“, erklärte der Facharzt für Neurologie und Psychiatrie.

Nachdem sich diese als unverträglich oder ineffektiv herausgestellt hatten, erhielt sie den Anti-CGRP-Antikörper Fremanezumab (Ajovy®), der einmal im Monat oder vierteljährlich angewendet wird. Durch diese Behandlung habe sich die Anzahl ihrer Tage mit Migräne von 14 auf etwa 2 im Monat verringert, und die ständige Angst vor einer Attacke sei verschwunden.

Die Erfahrungen der Patientin entsprechen den klinischen Daten, die eine rasche und anhaltende Wirksamkeit von Fremanezumab belegen.

Dr. Marion Hofmann-Aßmus

**Quellen:** [1] Porst M et al. J Health Monit. 2020;5(Suppl 6):2–24; virtuelles Pressegespräch „Migräneprophylaxe mit Anti-CGRP-Antikörpern – von den Studiendaten zur Patientenrealität“, 11. Juli 2022 (Veranstalter: Teva)

## Kurz notiert

### Zwei Wirkstoffe gegen akuten Husten

Der Hustensaft Bronchostop® Sine kann die Behandlung von akutem Husten im Vergleich zur Anwendung von Monopräparaten möglicherweise vereinfachen, da er sowohl bei Reizhusten im Rachen als auch bei produktivem Husten eingesetzt werden kann. Nach Angaben des Herstellers beruhigt Eibisch die entzündete Schleimhaut im Mund- und Rachenraum, unterdrückt den Hustenreflex jedoch nicht komplett. Thymian fördere als Hustenlöser das Abhusten bei produktivem Husten. Das Heilpflanzen-Duo ist vegan, ethanolfrei und kann bereits Kindern ab 3 Jahren gegeben werden. *red*

**Quelle:** Nach Informationen von Klosterfrau