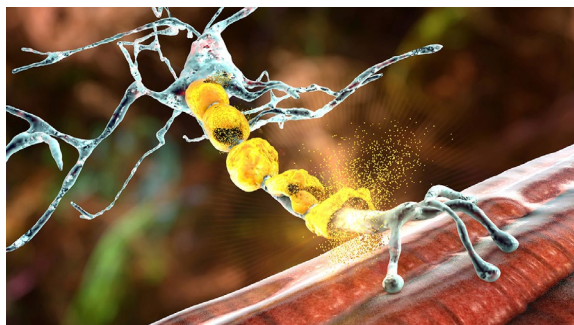


# Pharmaforum

Was ist neu in der medikamentösen Therapie?



## Effektive Schubprophylaxe bei NMOSD

### C5-Komplementinhibitor bei Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen (NMOSD)

Anders als bei der Multiplen Sklerose ist die Akkumulation der Behinderung bei NMOSD rein schubabhängig. Das bedeutet: „Verhindert man Schübe, verhindert man den Krankheitsfortschritt“, so Prof. Luisa Klotz, Klinik für Neurologie mit Institut für Translationale Neurologie, Universitätsklinikum Münster.

NMOSD entstehen meist durch Autoantikörper, die sich gegen das Protein Aquaporin-4 (AQP4) richten. Dadurch kommt es zu einer unkontrollierten Ak-

tivierung des Komplementsystems und in der Folge zu einer erhöhten Durchlässigkeit der Blut-Hirn-Schranke, Astrozytopathie und schließlich zu einem Absterben der umgebenden Oligodendrozyten und Neuronen.

#### **Schubfrei über 96 Wochen**

Ravulizumab (Ultomiris®) wurde als erster langwirksamer C5-Komplement-Inhibitor zur Behandlung der AQP4-Antikörper-positiven NMOSD zugelass-

sen. Für die Antikörpertherapie konnte in der Studie CHAMPION NMOSD sowie in der offenen Verlängerungsstudie eine hohe Schubratenreduktion und ein rascher Wirkeintritt gezeigt werden [1]. Selbst nach 96 Wochen waren alle mit Ravulizumab Behandelten weiterhin schubfrei.

*Dr. Silke Wedekind*

**Quellen:** [1] Pittock SJ et al. *Kidney Int.* 2023;100:225–37; Symposium „Aktuelle Chancen und Herausforderungen in der Therapie seltener neuroimmunologischer Erkrankungen“, im Rahmen des 96. Kongresses der Deutschen Gesellschaft für Neurologie (DGN), Berlin, 8. November 2023 (Veranstalter: Alexion)

## Therapie bei Muskelschwund

### Alternative zu Kortison bei Duchenne-Muskeldystrophie

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) hat ein positives Gutachten für Vamorolon (Agamree®) zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Betroffenen ab 4 Jahren erteilt. Die Markteinführung in Deutschland ist im ersten Quartal 2024 geplant, vorbehaltlich der Zulassung durch die Europäische Kommission.

Vamorolon könnte aufgrund seines besonderen Wirkmechanismus eine Alternative zu Glukokortikoiden darstellen, der derzeitigen Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD.

In der Zulassungsstudie VISION-DMD erreichte Vamorolon den primären Endpunkt (Geschwindigkeit der Aufstehbewegung im Vergleich zu Placebo;  $p=0,002$ ) [1]. Im Vergleich mit Kortikosteroiden zeigte sich kein negativer Einfluss auf das Wachstum.

Weitere klinische Studien zeigten, dass Vamorolon im Gegensatz zu Kortikosteroiden weder den Knochenstoffwechsel noch die Knochenmineralisierung an der Wirbelsäule beeinträchtigt. *Red*

**Quellen:** [1] Guglieri M et al. *JAMA Neurol.* 2022;79(10):1005–14; nach Informationen von Santhera

### **Kurz notiert**

#### **Diagnose-Check auf Lipodystrophie**

Die Lipodystrophie hat vielfältige Symptome, was die Diagnosestellung erschweren kann. Daher hat Amryt Pharma zum 5. Jahrestag der Zulassung des Leptin-Analogons Metreleptin (Myalepta®) einen digitalen Diagnose-Check entwickelt. Anhand der visualisierten Symptome und klinischen Anzeichen lässt sich die Wahrscheinlichkeit für das Vorliegen einer Lipodystrophie besser einschätzen, sodass ggf. weitere Untersuchungen eingeleitet werden können. Das webbasierte Tool steht unter dem Link <https://de.lipodystrophy.eu/de/diagnose-check> oder über den nebenstehenden QR-Code zur Verfügung. *Red*



**Quelle:** Nach Informationen von Amryt