

Patentfreies Miglustat-Präparat bei Niemann-Pick-Krankheit Typ C zugelassen

— Das patentfreie Miglustat-Präparat Yargesa® hat die EU-Zulassung für Patienten mit Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NP-C) erhalten. NP-C gehört mit einer Prävalenz von 1:130.000 zu den sehr seltenen, genetisch bedingten neurodegenerativen Erkrankungen. Die Krankheit beruht auf einer pathologischen Anreicherung von Lipiden und anderen Stoffwechselprodukten in der Zelle. Ursache hierfür sind Mutationen in

den Genen NPC1 und NPC2. Die Speicherstörung hat neurologische Ausfälle und schließlich eine Demenz zur Folge. Meist manifestiert sich die Erkrankung bereits im Kleinkindalter und endet nach wenigen Jahren tödlich.

Bei dem Arzneistoff Miglustat handelt es sich um einen Iminozucker und ein n-Butyl-Derivat des Moranolins. Rationale für die Behandlung von NP-C mit Yargesa® ist die

hemmende Wirkung von Miglustat auf die Glukosylceramidsynthase, die für den ersten Schritt in der Synthese der meisten körpereigenen Glykolipide verantwortlich ist. Somit ist es möglich, das Fortschreiten der neurodegenerativen Symptome zu verlangsamen. Durch die Zulassung als patentfreies Arzneimittel, können die Behandlungskosten gesenkt und den Patienten die notwendige Therapie besser ermöglicht werden. *red*

Nach Informationen von Piramal Critical Care

Gentherapie gegen spinale Muskelatrophie

— Die US-amerikanische FDA hat Zolgensma® (onasemnogen abeparvovac-xioi) für die Behandlung von Kindern unter 2 Jahren mit spinaler Muskelatrophie (SMA) zugelassen, einschließlich solcher, die bei der Diagnose noch keine Symptome zeigen. Mit dem Präparat wird eine funktionelle Kopie des menschlichen SMN-1-Gens bereit-

gestellt, um das Fortschreiten der Krankheit durch anhaltende SMN-Proteinexpression zu stoppen. Es wird in einer einmaligen Infusion gegeben. Daten aus der noch laufenden Phase-III-Studie STRIVE zeigen in Übereinstimmung mit der Phase-I-Studie START ein längeres ereignisfreies Überleben, eine Verbesserung der motorischen Funkti-

on und das Erreichen von Meilensteinen in der Entwicklung von Patienten mit SMA Typ 1. Die am häufigsten beobachteten unerwünschten Ereignisse waren erhöhte Aminotransferasen und Erbrechen. Das Präparat ist die erste und einzige von der FDA zugelassene Gentherapie zur Behandlung von Patienten mit SMA. *red*

Nach Informationen von Avexis/Novartis

Präventionsmöglichkeiten bei FSME nutzen

— Welche Präventionsmöglichkeiten gibt es, um sich vor Frühsommer-Meningoenzephalitis (FSME) zu schützen? Der Parasitologe Prof. Dr. Heinz Mehlhorn und der Mikrobiologe Dr. Michael Bröker trafen sich im GSK-Impfstoffwerk in Marburg, um über Zecken und FSME zu sprechen. Effektiv schützen könne man sich zum Beispiel durch Expositionsprophylaxe, sagte Mehlhorn. Denn wer nicht von Zecken gestochen werde, könne auch nicht an von ihnen übertragenen Erregern erkranken. Hierzu gehören Repellents und das Tragen langer Kleidung.

Eine weitere Möglichkeit bestehe darin, sich gegen FSME impfen zu lassen, beispielsweise mit Encepur®, ergänzte Bröker. Da nicht nur Zecken FSME übertragen können, sondern es auch schon nachweislich Fälle durch den Verzehr von Rohmilch gegeben habe, sei eine Impfung der zuverlässigste Schutz vor der Erkrankung, so Bröker. Als Procedere für eine FSME-Impfung empfahl der Mikrobiologe das konventionelle Impfschema von Encepur®:

Hier könne bei der Grundimmunisierung die zweite Teilimpfung flexibel zwei Wochen bis drei Monaten nach der ersten Dosis gegeben werden, die dritte erfolge nach etwa neun bis zwölf Monaten. Die erste Auffrischung solle nach etwa drei Jahren erfolgen, anschließend im Abstand von fünf Jahren.

Haben es Patienten eilig, könne mit dem Schnellschema an den Tagen 0, 7 und 21 grundimmunisiert werden. So könne innerhalb von vier Wochen ein zuverlässiger Schutz vor FSME aufgebaut werden, ergänzte Mehlhorn. Für Bröker stellten Zecken allgemein eine Gefahr dar. Denn neben FSME übertragen sie bekanntermaßen auch bakterielle Erkrankungen wie die Borreliose, an der schätzungsweise bis zu 80.000 Menschen jährlich erkranken. Der Parasitologe warnte zudem, dass ein Drittel aller Zecken Rickettsien enthalten, die in anderen Ländern für Erkrankungen wie Fleckfieber verantwortlich seien. *red*

Nach Informationen von GSK



© ErikKarits / Getty Images / iStock

Eilt es, kann eine Grundimmunisierung gegen Frühsommer-Meningoenzephalitis auch in 4 Wochen erreicht werden.