

Gentherapie bei zerebraler Adrenoleukodystrophie zugelassen

Die Europäische Arzneimittelagentur hat den Zulassungsantrag für die Gentherapie Elivaldogene autotemcel (Eli-cel, Lenti-D™) zur Behandlung einer Teilgruppe von Patienten mit Zerebraler Adrenoleukodystrophie (CALD) angenommen. Bei der Gentherapie werden einmalig funktionelle Kopien des ABCD1-Gens in patienteneigene hämatopoetische (Blut-)Stammzellen eingefügt. Dadurch sollen Patienten das ALDP-Protein selbst produzieren können. Das Protein baut im Gehirn überlangkettige Fettsäuren ab, die bei CALD in toxischer Konzentration auftreten. *red*

Nach Informationen von bluebird bio

Zusatztherapie für das Dravet-Syndrom rückt näher

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) hat sich positiv für die Zulassung von Fenfluramin (Fintepla®) ausgesprochen. Fenfluramin ist zur Behandlung von epileptischen Anfällen indiziert, die im Zusammenhang mit dem Dravet-Syndrom stehen, eine im frühen Kindesalter beginnende, schwere und lebenslang andauernde Form der Epilepsie. Es wurde als Zusatztherapie zu anderen Antiepileptika für Patienten ab zwei Jahren empfohlen. *red*

Nach Informationen von Zogenix

Am Welt-Frühgeborenen-Tag ein Zeichen setzen

Auch dieses Jahr machte Nestlé am Welt-Frühgeborenen-Tag am 17. November auf die Situation von Frühchen und ihren Angehörigen aufmerksam: 170 Kinderkliniken und neonatologische Intensivstationen erhielten Aktionspakete, unter anderem mit Schnittvorlagen für das Symbol des Welt-Frühgeborenen-Tages: ein sehr kleines lilafarbenes Sockenpaar, begleitet von neun Paaren weißer, größerer Babysockchen. Das symbolisiert, dass jedes zehnte Baby zu früh geboren wird. Für Neonatologen und medizinische Fachgruppen fand das Webinar „Advances in Neonatal Nutrition“ statt, das als Online-Fortbildung unter nestlenutrition-institute.de weiterhin zur Verfügung steht. *red*

Nach Informationen von Nestlé

ADHS – Mehrfach-Herausforderung Transition

— Einer erfolgreichen Transition von Patienten mit Aufmerksamkeitsdefizit-/Hyperaktivitätsstörung (ADHS) vom jugendlichen ins Erwachsenenalter stellen sich auf drei Ebenen Schwierigkeiten entgegen:

1. Mangelnde Anerkennung von ADHS als Erkrankung auch von Erwachsenen seitens Ärzteschaft und Gesellschaft
2. Mangelnde Vergütung ärztlicher Leistungen bei erwachsenen ADHS-Patienten
3. Mangelnde individuelle Reife und fehlende Erfahrung der Patienten, während und nach der Transition verantwortlich mit der Krankheit umzugehen.

Diese Kategorisierung der Herausforderungen während der Transition durch Dr. Günther Endrass, Vorsitzender des Berufsverbandes Deutscher Nervenärzte (BVDN) Rheinland-Pfalz und niedergelassener Neurologe in Grünstadt, wurde von den Teilnehmern eines von Medice veranstalteten Workshops aufgegriffen und untermauert.

Trotz der erheblichen Lebenszeitprävalenz der ADHS von 4–5 % fehle es vielen Allgemeinärzten und Psychiatern an der Akzeptanz der Erkrankung als eine oftmals über die Jugendzeit hinaus andauernde Störung. Entsprechend katastrophal stelle sich die

medikamentöse Versorgung der Patienten während der Transition dar (**Abb. 1**). So werde mit 21 Jahren nur noch ein Drittel der bereits im Jugendalter behandelten Patienten unter der Diagnose ADHS geführt. Lediglich ein Zehntel der Patienten erhalte eine eigentlich indizierte entsprechende Medikation.

Tatsächlich geht die mangelhafte Akzeptanz der ADHS im Erwachsenenalter zusätzlich oft mit Entwicklungsrückständen bei den Patienten einher, die einen reibungslosen Übergang in die Therapie beim Psychiater erschweren. Einer kontinuierlichen Versorgung stünden somit, so Endrass, ein natürliches, aber oft mit Störungen des Sozialverhaltens kombiniertes Autonomiestreben sowie eine Überforderung durch die ungewohnte Eigenverantwortung im Weg.

Der Psychiater verwies auch auf die kürzlich publizierte S3-Leitlinie zur ADHS, die endlich auch außerhalb der Kinder- und Jugendpsychiater zur Kenntnis genommen werden müsse. *Jan Groh*

Praxis-Workshop „ADHS im Dialog“, Hamburg, 12.9.2020; Veranstalter: MEDICE Arzneimittel Pütter

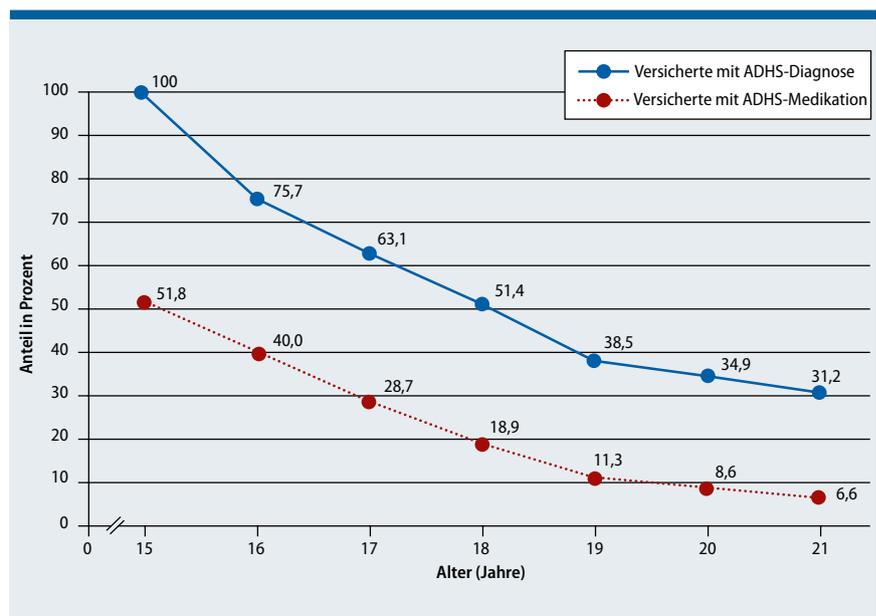


Abb. 1: Diagnose und medikamentöse Behandlung von ADHS-Patienten nach Lebensalter (mod. n. [Bachmann CJ et al. Dtsch Arztebl Int 2017;114(9):141-8])