

## Emapalumab bei pHLH – Gute Ansprechraten und Verträglichkeit

— Die primäre hämophagozytische Lymphohistiozytose (pHLH) ist ein sehr seltenes Syndrom, das durch Hyperinflammation charakterisiert ist und unbehandelt in der Regel letal verläuft. Das Therapieziel besteht darin, die Symptomatik der Patienten zu kontrollieren und so eine allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSZT) zu ermöglichen. Eine Schlüsselrolle in der Pathogenese spielt das Zytokin Interferon(IFN)- $\gamma$ . Der humane Antikörper Emapalumab (Gamifant<sup>®</sup>) bindet und neutralisiert freies und Rezeptor-gebundenes IFN- $\gamma$ . Im New England Journal of Medicine wurden kürzlich die Ergebnisse einer offenen klinischen Phase-II/III-Studie mit Emapalumab publiziert [Locatelli F et al. N Engl J Med 2020;382:1811-22].

In dieser Studie wurden die Wirksamkeit und Sicherheit von Emapalumab bei 34 Patienten mit pHLH im Alter von maximal 18 Jahren (medianes Alter ca. 1 Jahr) untersucht. Die geplante Behandlungsdauer von acht Wochen konnte nach Bedarf verkürzt oder

bis zu einer HSZT verlängert werden. Der primäre Endpunkt, die Gesamtansprechrate (vollständiges oder partielles Ansprechen oder Verbesserung der HLH) zum Ende der achtwöchigen Behandlung, betrug 63 % bei mit Standardtherapie vorbehandelten Patienten und 65 % in der Gesamtpopulation. Damit liegt das Ergebnis signifikant höher als die präspezifizierte Nullhypothese von 40%. In den jeweiligen Gruppen konnten 70 % (vorbehandelt) und 65 % (Gesamtpopulation) der Patienten einer HSZT zugeführt werden. Nach einer medianen Beobachtungsdauer von 11,8 Monaten lag die geschätzte 1-Jahres-Überlebensrate bei jeweils 73 % und 69 %. Ein Jahr nach Transplantation lag sie bei diesen Patienten bei 90 %.

Emapalumab wies ein im Vergleich zur Immun-Chemotherapie gutes Verträglichkeitsprofil auf. Nur zwei Patienten brachen die Studie aufgrund von Nebenwirkungen in Verbindung mit dem Antikörper ab. *red*

Nach Informationen von Sobi

## Neue Dreifachkombi verbessert Lungenfunktion bei zystischer Fibrose

— Eine F508del-Mutation im Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (CFTR)-Gen ist die häufigste Ursache einer zystischen Fibrose (CF) und hat zur Folge, dass zu wenig oder dysfunktionales CFTR-Protein an die Zelloberfläche gelangt. Dadurch kommt es zu einem verminderten Ausströmen von Chlorid-Ionen und Wasser aus den Zellen, Körpersekrete werden dickflüssig und zäh. Die neue Dreifachkombination Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor (Kaftrio<sup>®</sup>) soll die Menge an funktionsfähigem F508del-CFTR-Protein auf der Zelloberfläche erhöhen. Über 70 % aller CF-Patienten kommen für die Therapie mit CFTR-Modulatoren infrage, sagte Dr. Carsten Schwarz vom Mukoviszidose-Zentrum der Charité in Berlin auf einem Pressegespräch von Vertex.

Die Marktzulassung erfolgte auf der Grundlage zweier internationaler Phase-III-Studien: In einer 24-wöchigen Studie bei 403 Patienten mit einer F508del-Mutation und einer

Minimalfunktions-Mutation wurde mit der Triple-Kombinationstherapie die Lungenfunktion (primärer Endpunkt) um 14,3 Prozentpunkte gegenüber Baseline verbessert, berichtete Professor Marcus Mall, Charité Berlin. Die Rate pulmonaler Exazerbationen wurde um 63 % reduziert, außerdem verbesserten sich die Lebensqualität und der Chloridgehalt im Schweiß [Middleton PG et al. N Engl J Med 2019;381:1809-19]. In der zweiten vierwöchigen Studie bei 107 Patienten mit zwei F508del-Mutationen erhöhte sich die Lungenfunktion unter der Triple-Therapie gegenüber der Kombination Tezacaftor/Ivacaftor um 10 Prozentpunkte [Heijerman HGM et al. Lancet 2019;394:1940-8]. Die Tripel-Kombinationstherapie wurde in beiden Studien gut vertragen. *Roland Fath*

Pressegespräch „Die nächste Generation der CFTR-Modulation“, Webcast, 16.9.2020; Veranstalter: Vertex Pharmaceuticals

## Wunde Brustwarzen entlasten, um vorzeitiges Abstillen zu verhindern

Oft sind wunde Brustwarzen der Grund, dass Kinder vorzeitig abgestillt werden. Meist reicht es schon, das Kind anders anzulegen, aber auch Brusthütchen aus Silikon können helfen. Sie werden vor dem Stillen aufgelegt und entlasten die Brustwarzen. Wichtig ist, auf die richtige Größe zu achten und darauf, dass sie – wie die Brusthütchen von NUK – eine Aussparung für die Nase haben und sehr dünn sind, damit das Baby seine Mutter fühlen und riechen kann. Seit Oktober gibt es NUK-Brusthütchen auch in Größe S, damit stehen nun drei Größen mit den Durchmessern 16 mm (S), 20 mm (M) und 24 mm (L) zur Verfügung. *red*

Nach Informationen von NUK

## Perampanel bei Epilepsie nun auch für Kinder zugelassen

Die Europäische Kommission hat die Zulassungserweiterung von Perampanel (Fycompa<sup>®</sup>) für die Behandlung von Kindern mit Epilepsie erteilt. Das Medikament wird nun als Zusatztherapie bei fokalen Anfällen (mit oder ohne sekundäre Generalisierung) ab vier Jahren und primär generalisierten tonisch-klonischen Anfällen ab sieben Jahren mit idiopathischer generalisierter Epilepsie zur Verfügung stehen. Perampanel hat sich bereits bei Jugendlichen und Erwachsenen als wirksam und verträglich erwiesen und kann unter anderem aufgrund seiner postsynaptischen Wirksamkeit gut mit anderen Substanzen kombiniert werden. *red*

Nach Informationen von Eisai

## Mehr Patienten profitieren von Therapie bei Phosphatdiabetes

Burosumab (Crysvita<sup>®</sup>) zur Behandlung von X-chromosomaler Hypophosphatämie (XLH) steht nach einer Zulassungserweiterung nun allen Jugendlichen mit röntgenologisch nachweisbarer Knochenerkrankung, unabhängig vom Wachstumsstatus, sowie auch Erwachsenen zur Verfügung. Dies erlaubt eine Behandlung während der Transition und nun sogar darüber hinaus. *red*

Nach Informationen von Kyowa Kirin