

## Reserveantibiotikum ist nun auch für pädiatrische Patienten verfügbar

— Seit November 2020 ist Ceftazidim-Avibactam (Zavicefta®) auch für pädiatrische Patienten ab einem Alter von drei Monaten zugelassen. Damit ist es das einzige Reserveantibiotikum der neueren Generation mit einer Zulassung für die Pädiatrie. Ceftazidim-Avibactam kann bei folgenden Infektionen eingesetzt werden: Komplizier-

te intraabdominelle Infektionen (cIAI), komplizierte Harnwegsinfektionen (cUTI), einschließlich Pyelonephritis sowie nosokomiale Pneumonien (HAP), einschließlich beatmungsassoziierter Pneumonien (VAP). Ceftazidim-Avibactam wird in allen Indikationen einheitlich dosiert, standardmäßig 2 g/0,5 g alle acht Stunden, mit einer emp-

fohlenen Infusionsdauer von zwei Stunden. Bei pädiatrischen Patienten kann abhängig von Lebensalter und Nierenfunktion eine Dosisanpassung erforderlich sein. Das Wirkspektrum von Ceftazidim-Avibactam umfasst zahlreiche multiresistente gramnegative Erreger, darunter *Klebsiella pneumoniae*, *Escherichia coli*, *Serratia marcescens*, *Proteus mirabilis* und *Pseudomonas aeruginosa*. red

Nach Informationen von Pfizer

## Sicherer Blutungs- und Gelenkschutz bei Hämophilie A

— Mit Efmoroctocog alfa (Elocta®) wurde 2015 der erste rekombinante Gerinnungsfaktor mit verlängerter Plasmahalbwertszeit auf dem europäischen Markt eingeführt. Dabei wird der rekombinante Faktor VIII kovalent mit dem Fc-Teil von IgG1 verbunden. Die gegenüber konventionellen Präparaten 1,5-fach längere Plasmahalbwertszeit ermöglicht die Festlegung individueller Behandlungsziele mittels unterschiedlicher Therapieschemata und einen höheren Blutungsschutz. Die Hämophilie-A-Therapie

kann so stärker an die Bedürfnisse des Patienten angepasst werden. Der bessere Schutz ermöglicht die Ausübung aktiver Sportarten oder Alltagsaktivitäten. Ein maßgebliches Kriterium für den Therapieerfolg ist die Vermeidung von Gelenkblutungen und damit der Erhalt der Gelenkgesundheit. In einer Studie wurde gezeigt, dass mehr als 90% der über 20-jährigen Patienten mit schwerer Hämophilie A bereits Gelenkblutungen hatten [Den Uijl IEM et al. Haemophilia 2011;17:849-53]. Efmoroc-

tocog alfa wirkt gelenkprotektiv, wobei der Effekt mit zunehmender Behandlungsdauer kontinuierlich wächst, wie auch die ASPIRE-Studie zeigte. Darin wurden insgesamt 211 Patienten aus den beiden Zulassungsstudien A-LONG und Kids A-LONG open-label mit Efmoroctocog alfa weiterbehandelt und über einen Zeitraum von fünf Jahren Daten zu Sicherheit, Wirksamkeit und Gelenkschutz unter realen Versorgungsbedingungen erhoben. Weitere Real-World-Daten werden derzeit im Rahmen der PREVENT-Studie gesammelt. red

Nach Informationen von Swedish Orphan Biovitrum (Sobi)

## 2-Jahres-Daten zeigen Wirksamkeit und Verträglichkeit von Risdiplam bei SMA Typ 1

— Gerade bei den schweren Formen der spinalen Muskelatrophie (SMA) ist ein früher Behandlungsbeginn vorteilhaft. Ein Therapieansatz ist das Prüfpräparat Risdiplam (Evrysdi®), das als sogenannter Spleiß-modifikator die bei der SMA ubiquitär verringerten SMN-Proteinlevel anheben kann. Die 2-Jahres-Daten bei Säuglingen und Kleinkindern, die mit der therapeutischen Dosis von Risdiplam behandelt wurden, zeigen, dass sich diese Kinder weiter entwickelten und mehr motorische Meilensteine erreichten als ohne Therapie zu erwarten gewesen wäre. In die Studie eingeschlossen waren 21 Säuglinge im Medianalter von 6,3 Monaten mit symptomatischer SMA Typ 1. Zum Zeitpunkt der Analyse war das jüngste Kind 28,4 Monate und das älteste 45,1 Monate alt.

Unter Risdiplam waren nach zwei Jahren noch 88% der Studienteilnehmer (n = 14) am Leben und benötigten keine permanente Beatmung. Fast 60% der Kleinkinder waren in der Lage, mindestens 5 Sekunden ohne Unterstützung zu sitzen (Anteil 10/17 vs. 7/17 nach 1 Jahr). Die Beurteilung erfolgte mittels der bruttomotorischen Skala der Bayley Scales of Infant and Toddler Development Third Edition (BSID-III). Zudem verbesserte Risdiplam zwischen dem Ende des ersten und dem zweiten Behandlungsjahr die motorischen Fähigkeiten gemäß Hammersmith Infant Neurological Examination Modul 2 (HINE-2). Nach zwei Behandlungsjahren konnten 65% der Patienten den Kopf dauerhaft aufrecht halten (vs. 53% nach 1 Jahr), 29% von der Rückenlage in die Bauchlage

wechseln (vs. 12% nach 1 Jahr) und 30% ihr eigenes Gewicht tragen oder mit Unterstützung stehen (vs. 6% nach 1 Jahr, die ausschließlich ihr eigenes Gewicht tragen konnten).

In der Analyse der 2-Jahres-Daten aus dem ersten Teil der FIREFISH-Studie wurden keine neuen Sicherheitssignale gefunden. Zu den häufigsten therapiebedingten unerwünschten Ereignissen bei den 21 Studienteilnehmern zählten Fieber (71%), Infektionen der oberen Atemwege (52%), Husten (33%), Erbrechen (33%), Diarrhö (29%) und Infektionen der gesamten Atemwege (29%). Mit 24% war die Lungenentzündung das häufigste schwerwiegende unerwünschte Ereignis. Die Ursachen für die drei letalen Verläufe stehen nicht mit einer Risdiplam-Behandlung in Verbindung. red

Nach Informationen von Roche