

Gentherapie bei MLD läuft an

Die lentivirale Gentherapie Atidarsagene autotemcel (Libmeldy®) ist von der Europäischen Kommission zugelassen für die Behandlung der neurodegenerativen Erkrankung metachromatische Leukodystrophie (MLD) bei Early-onset-Patienten, die eine biallelische Mutation im ARSA-Gen aufweisen. In Deutschland wird nun erstmals ein Kind mit Atidarsagene autotemcel behandelt. Um weitere geeignete Patienten zu finden, soll ein entsprechendes Screeningprogramm etabliert werden – auch in anderen Ländern Europas. *red*

Nach Informationen von Orchard Therapeutics

Das Immunsystem zu stärken, ist wichtig wie nie

Infolge der Hygienemaßnahmen durch die Corona-Pandemie hatten Kinder weniger Gelegenheit, ein immunologisches Gedächtnis auszubilden. Umso wichtiger, das Immunsystem der Kinder zu stärken. Dafür wurde die Mikronährstoff-Kombination von immunLoges® Saft entwickelt. Das Präparat beinhaltet unter anderem die Extrakte Spirimmun® (Spirulina-Alge) und Betox-93® (aktive 1,3-/1,6-β-Glucane). immunLoges® Saft ist gut verträglich und für Kinder ab einem Jahr geeignet. Außerdem gibt es immunLoges® als Kapseln mit 20, 60 oder 120 Stück pro Packung exklusiv in Apotheken. *red*

Nach Informationen von Dr. Loges

Dreimonatskoliken kinderleicht auflösen

Sanfte, schnelle und gezielte Hilfe bei Dreimonatskoliken bietet sab simplex® Suspension mit dem Wirkstoff Simeticon. Die Luftbläschen im Magen-Darm-Trakt werden dadurch aufgelöst und als Bäumchen oder Winde abtransportiert. Simeticon ist gut verträglich und wirkt rein physikalisch: Es wird nicht vom Organismus aufgenommen, sondern mit dem übrigen Darminhalt ausgeschieden. Die Suspension mischt sich problemlos mit Flüssigkeiten und wird somit direkt in das frisch zubereitete Fläschchen oder bei Stillkindern vor dem Stillen mit einem kleinen Löffel in die Wangentasche gegeben. *red*

Nach Informationen von Pfizer

Hereditäres Angioödem: Früh erkennen, Kindheit retten

— Dem hereditären Angioödem (HAE) liegt meist ein Mangel an C1-Esterase-Inhibitor zugrunde, der zu einem letztlich durch Bradykinin verursachten Ödem führen kann, das lebensbedrohlich ist, wenn es im Bereich der Atemwege auftritt. „Das HAE tritt mit einer Häufigkeit von 1:50.000 auf, aber die Dunkelziffer ist wahrscheinlich sehr hoch“, so PD Dr. Renate Krüger von der Klinik für Pädiatrie der Charité Berlin, auf einem Symposium von BioCryst Pharma anlässlich des DGKJ-Kongresses 2021. Rund die Hälfte der Patienten habe die ersten Attacken schon vor dem zwölften Lebensjahr. Trotzdem werde die Mehrheit der Betroffenen erst viel später diagnostiziert. Für die Kinder kann das die Lebensqualität massiv beeinträchtigen. Doch gebe es mittlerweile eine Reihe von prophylaktisch wirksamen Arzneimitteln, die dem individuellen Bedarf gemäß eingesetzt werden könnten“, betonte Professor Markus Magerl

vom Allergie-Centrum der Dermatologie an der Charité Berlin, „Das Ziel der Prophylaxe ist heute die durchgehende Beschwerdefreiheit.“

Eine neue Option für die HAE-Prophylaxe ist Berotralstat (Orladeyo®), ein small molecule, das an Kallikrein bindet und so die Bradykinin-Bildung verhindert. Es ist das erste Medikament, das bei einmal täglicher Einnahme eine orale Prophylaxe ermöglicht. Diese sei gerade im Langzeitverlauf sehr effektiv, so Magerl. So habe die Open-label-Verlängerung der zulassungsrelevanten APeX-2-Studie gezeigt, dass es zum Ende des ersten Prophylaxejahrs eine im Mittel 80%ige Reduktion der Attackenfrequenz gebe. Dies hielt dann bis zum 2-Jahres-Follow-up unverändert an.

Philipp Grätzel von Grätz

Symposium „Hereditäres Angioödem (HAE) bei Kindern – selten und unerkannt“, DGKJ-Kongress, Berlin (hybrid), 7.10.2021; Veranstalter: BioCryst Pharma

Fehlendes RSV-Immuntraining gefährdet Risikokinder

— „Soziale Distanz und verstärkte Hygienemaßnahmen aufgrund der Pandemie haben Infektionserreger ausgebremsst und unser natürliches Immuntraining gegenüber Influenza und dem respiratorischen Synzytial-Virus (RSV) verhindert“, erklärte Professor Markus Rose, Leiter der pädiatrischen Pneumologie und Allergologie am Olgahospital Stuttgart, auf einer Presseveranstaltung von AstraZeneca. Als Preis für das fehlende Training kann die RSV-Saison besonders heftig ausfallen, wie aktuelle Analysen vermuten lassen [Van Summeren J et al. Euro Surveillance 2021;26:29].

„Wir haben zwei komplette Geburtsjahrgänge, die sich bislang kaum mit diesem vor allem im jungen Alter häufigsten Erreger schwerer Atemwegsinfektionen auseinandergesetzt haben“, so Rose. Als konkrete Maßnahmen zum Gegensteuern empfiehlt er, verpasste Schutzimpfungen gegen zum Beispiel Influenza, Pertussis und Pneumokokken rasch nachzuholen sowie bei Risiko-

kindern die RSV-Immunprophylaxe mit Palivizumab (Synagis®).

Der monoklonale Antikörper zur Passiv-Immunisierung ist derzeit das einzige Medikament, das bei Kindern mit hohem Risiko für schwere RSV-Erkrankungen zugelassen ist. Dies sind vor allem Kinder unter zwei Jahren, die innerhalb der letzten sechs Monate wegen bronchopulmonaler Dysplasie behandelt wurden, aber auch späte Frühgeborene, die vor der vollendeten 35. Schwangerschaftswoche geboren wurden und zu Beginn der RSV-Saison jünger als sechs Monate sind. Eine baldige „Rückkehr zur sozialen Normalität“, in der die Kinder wieder miteinander im Dreck spielen dürfen, wäre nach Ansicht von Rose die beste Maßnahme für die Jüngsten. *Dr. Ellen Jahn*

Digitale Presseveranstaltung „Auch die Kleinsten im Blick haben – RSV-Prophylaxe“, 18.8.2021; Veranstalter: AstraZeneca