

Krankheitsmodifizierende Therapie bei AADC-Mangel zugelassen

Die Gentherapie Eladocogene exuparvec (Upstaza™) wurde in der EU als krankheitsmodifizierende Behandlung für den Aromatischen-L-Aminosäure-Decarboxylase(AADC)-Mangel für Patienten ab 18 Monaten zugelassen, wie der Hersteller PTC bekannt gibt. In klinischen Studien zeigten Patienten, die zuvor keinerlei motorische Meilensteine erreicht hatten, bereits drei Monate nach der Behandlung klinisch relevante motorische Fähigkeiten. Diese verbesserten sich im Beobachtungszeitraum von zehn Jahren nach der Behandlung weiter. Auch die kognitiven Fähigkeiten verbesserten sich bei allen Probanden.

red

Nach Informationen von PTC

Langfristig verbesserte Lungenfunktion unter CFTR-Modulatoren

Eine Zwischenanalyse der laufenden fünfjährigen PASS-Studie zeigt, dass die Behandlung von Patienten mit zystischer Fibrose mit Ivacaftor/Tezacaftor/Elxacaftor (Kaftrio®) und Ivacaftor über einen Zeitraum von neun Monaten mit einer verbesserten Lungenfunktion und einem um 77 % reduzierten Risiko für pulmonale Exazerbationen im Vergleich zur Baseline assoziiert war. Gegenüber den historischen Daten des Registers von 2019 war zudem das Lungentransplantationsrisiko im ersten Behandlungsjahr um 87 % verringert, das Sterberisiko um 74 %.

red

Nach Informationen von Vertex

Mehr Wirkstärke bei allergischen Reaktionen

Das Unternehmen Viatrix erweitert sein Allergodil-Portfolio um Allergodil akut forte 1,5 mg/ml. Damit haben Betroffene die Option auf ein rezeptfreies Arzneimittel zur symptomatischen Behandlung von saisonaler allergischer Rhinitis und Konjunktivitis mit 50 % mehr Wirkstoffgehalt im Vergleich zu den bisher verfügbaren Produkten. Die volle Wirkung des Sprays setzt nach 15 Minuten ein und hält bis zu 24 Stunden an. Allergodil akut forte ist für die einmal tägliche Anwendung zugelassen. Das Nasenspray kann bei Kindern und Jugendlichen ab sechs Jahren angewendet werden.

red

Nach Informationen von Viatrix

Alagille-Syndrom: Neuer Therapieansatz mit IBAT-Inhibitor

— Das Alagille-Syndrom ist eine seltene Multisystemerkrankung mit einem breiten Spektrum an klinischen Erscheinungsformen. Die Symptome treten in der Regel in den ersten zwei Lebensjahren auf, berichtete Dr. Martin Jankofsky, Oberarzt in der Kinder- und Jugendmedizin am Universitätsklinikum Hamburg, auf einem von Mirum veranstalteten Symposium anlässlich der diesjährigen GPGE-Tagung.

Die Phänotypen seien hochvariabel und reichten von unauffälliger Klinik bis hin zu schweren Gefäßproblemen und der Notwendigkeit einer Lebertransplantation. Häufig sei ein cholestatischer Ikterus das Leitsymptom, hervorgerufen durch eine Gallenganghypoplasie, sodass Gallensäuren und pruritogene Substanzen in den Blutkreislauf übergehen und einen schweren Pruritus auslösen, so Jankofsky. Symptome als Folge der Leberbeteiligung sind auch ein Ikterus, Gedeihstörungen, Gerinnungsstörungen, ein Hypersplenismus, Aszites und Ösophagusvarizen.

PD Dr. Ekkehard Sturm, Oberarzt und Leiter der Kindergastroenterologie/-hepatologie am Universitätsklinikum Tübingen, stellte

neue Therapiemöglichkeiten am Beispiel von Hemmern des ilealen Gallensäuretransports („ileal bile acid transport“, IBAT) vor. Die IBAT-Inhibition blockiere beim Alagille-Syndrom die Gallensäure-Rezirkulation in die Leber und erhöhe die fäkale Gallensäure-Ausscheidung. Der IBAT-Inhibitor Maralixibat (Livmarli®) ist bereits in den USA zugelassen, der Zulassungsantrag in Europa ist eingereicht. In der Zulassungsstudie ICONIC wurde Maralixibat bei 31 Kindern im medianen Alter von fünf Jahren untersucht [Gonzales E et al. Lancet 2021;398:1581-92].

83 % der Patienten zeigten nach 48 Wochen Therapie eine Reduktion der Gallensäure-Serumkonzentration um mindestens 20 %, und 84 % gaben mindestens einmal eine klinisch relevante Verbesserung des Juckreizes in den ersten 48 Wochen an. Im Langzeitverlauf von 204 Wochen verbesserte sich zudem das Längenwachstum der Patienten.

Andrea Warpakowski

Symposium „Das Alagille-Syndrom – ein Blick in die Zukunft“, 37. Jahrestagung der Gesellschaft für Pädiatrische Gastroenterologie und Ernährung (GPGE) e.V., Rostock (digital), 13.5.2022; Veranstalter: Mirum Pharmaceuticals

Orale Therapie erweitert die Behandlungssituation bei Sialorrhö

— Bei Kindern und Jugendlichen ist die häufigste Ursache für eine Sialorrhö eine infantile Zerebralparese. Jedoch wird die Sialorrhö im Kindesalter selten als eigenständiges Symptom wahrgenommen. „Wir sehen sie am häufigsten bei Kindern mit einer neurologischen Grunderkrankung, sodass sie nur eines von zahlreichen Symptomen darstellt“, berichtete Dr. Ulf Hustedt, Sozialpädiatrisches Institut, Bremen, auf einer Pressekonferenz von Medice.

Ein breites Ursachenspektrum erfordert deshalb ein interdisziplinäres Behandlungsteam aus HNO-Ärzten und Neuro-Pädiatern. Die Abklärung schließt eine Schluckdiagnostik und oft eine logopädische Betreuung ein. Die Botulinumtoxin-Injektion in die Speicheldrüsen war viele Jahre lang die Therapie der ersten Wahl, was

auch in den Leitlinien so festgehalten ist. Laut Hustedt sei jedoch eine orale Therapie im Kindesalter besser geeignet, da sie zum einen angenehm, zum anderen gut titrierbar sei, also gut auf das individuelle Körpergewicht der Kinder angepasst werden könne.

Der Glycopyrroniumsaft Rybrila® wird dreimal täglich mindestens eine Stunde vor Mahlzeiten oder zwei Stunden danach eingenommen. Er ist zugelassen zur Behandlung von Sialorrhö bei Kindern und Jugendlichen ab drei Jahren mit chronisch neurologischen Erkrankungen.

Martina Eimer

Launch-Pressekonferenz „Ausgrenzung trockenlegen. Lebensqualität verbessern“, 4.7.2022; Veranstalter: Medice