

Verbesserte Bindung von Hämoglobin an Sauerstoff bei Sichelzellerkrankung

— In Deutschland leben etwa 3.200 Patientinnen und Patienten mit Sichelzellerkrankung, erklärte PD Dr. Ferras Alashkar, Oberarzt an der Klinik für Hämatologie und Stammzelltransplantation, Essen, auf einer Pressekonferenz von Global Blood Therapeutics. Die Erkrankung wird durch eine einzige Aminosäuresubstitution in der β -Globin-Untereinheit des Hämoglobins verursacht.

Im Februar 2022 hat die Europäische Arzneimittelagentur Voxelotor (Oxbryta®) für Personen ab dem Alter von zwölf Jahren mit einer hämolytischen Anämie infolge einer Sichelzellerkrankung als Monotherapie oder in Kombination mit Hydroxycarbamid zugelassen. Das Präparat setzt an den molekularen Ursachen der Erkrankung an. Es erhöht die Affinität des Hämoglobins, an Sauerstoff

zu binden, und verhindert die Polymerisation von Sichelhämoglobin.

Die Zulassung basiert auf den Ergebnissen der HOPE-Studie [Vichinsky E et al. N Engl J Med. 2019;381(6):509-19; Howard J et al. Lancet Haematol. 2021;8(5):e323-33]. Darin erhielten 274 von der Sichelzellerkrankung Betroffene 1:1:1 randomisiert einmal täglich 1.500 mg oder 900 mg Voxelotor oder ein Placebo. Primärer Wirksamkeitsendpunkt war die Hb-Ansprechrage, also der Prozentsatz der Teilnehmenden mit einem Hb-Anstieg von $> 1,0$ g/dl nach 24 Wochen, berichtete Professor Holger Cario, Oberarzt und Sprecher des Zentrums für seltene Störungen der Hämatopoese und für Immundefekte im ZSE Ulm.

Ein größerer Anteil der Teilnehmenden, die die Prüfsubstanz erhielten, zeigte einen

signifikanten Hb-Anstieg im Vergleich zu Placebo: So kam es unter 1.500 mg Voxelotor nach 24 Wochen zu einem Hb-Anstieg um 51 % im Vergleich zum Ausgangswert, unter Placebo erreichten das nur 7 % (Intention-to-treat-Analyse). Der Hb-Anstieg nach Voxelotor-Gabe blieb von Woche 24 bis 72 stabil. Außerdem reduzierten sich unter der Prüfsubstanz Hämolyseparameter wie das indirekte Bilirubin und der Anteil an Retikulozyten.

Die Inzidenz von unerwünschten Ereignissen, die nicht durch die Erkrankung selbst bedingt waren, ähnelte sich in den drei Studiengruppen. Eine offene Folgestudie und Real-World-Daten bestätigen die Ergebnisse der Zulassungsstudie, sagte der Referent abschließend.

Dr. Miriam Sonnet

Digitale Pressekonferenz anlässlich der Markteinführung von Oxbryta® (Voxelotor) in Deutschland. 31.5.2022; Veranstalter: Global Blood Therapeutics

Levodropropizin bei Reizhusten – wirksam, ohne Suchtpotenzial

— Akuter Reizhusten bei Kindern und Jugendlichen ist meistens harmlos und klingt in aller Regel nach einigen Tagen bis wenigen Wochen spontan ab, wie Dr. med. Marcus Dahlheim, Kinderpneumologe in Mannheim, auf einer Pressekonferenz von Pädia ausführte. Ursache des Hustens sind meist akute Virusinfektionen der oberen Atemwege.

Meist muss der Reizhusten nicht behandelt werden. Verursacht er jedoch Leidensdruck, etwa durch häufiges nächtliches Aufwachen, können Antitussiva eingesetzt werden. Das gilt, wenn behandlungsbedürftige Ursachen zuvor ausgeschlossen sind, auf die Warnsignale wie Dyspnoe und Stridor, Thoraxschmerz und Hämoptysen hinweisen.

Die meisten zentral wirksamen Antitussiva (Codein, Dextromethorphan) können Nebenwirkungen wie Schläfrigkeit, Atemdepression und Obstipation induzieren. Außerdem weisen sie ein Suchtpotenzial auf. Solche Probleme gibt es beim peripher wirksamen Levodropropizin (Quimbo®) nicht. Eine Metaanalyse von Studien, in denen Levodropropizin bei 1.178 Kindern

und Erwachsenen mit zentralen Antitussiva verglichen wurde, kam zu dem Ergebnis, dass das peripher wirkende Antitussivum in seiner Wirksamkeit auf die Schwere und Frequenz des Hustens sowie auf nächtliches Erwachen mindestens gleichwertig mit zentral wirksamen Antitussiva ist [Zanasi A et al. Multidisciplinary Respiratory Medicine. 2015;10(1):19]. Das Nutzen-Risiko-Verhältnis fiel dabei für Levodropropizin deutlich günstiger aus.

Gerade in der Pädiatrie sollten Substanzen mit günstigem Nutzen-Risiko-Profil bevorzugt werden, so Dahlheim. Levodropropizin stellt eine sichere und wirksame Option für die symptomatische Behandlung von akutem Reizhusten bei Kindern ab zwei Jahren, Jugendlichen und Erwachsenen dar. Seit Mitte August steht das Medikament in der Apotheke auch für die Selbstmedikation zur Verfügung.

Dr. Angelika Bischoff

Digitale Pressekonferenz „Levodropropizin neu bewertet: Bewährtes Wirkprinzip gegen Reizhusten jetzt auch als sichere Alternative in der Selbstmedikation“, 3.8.2022; Veranstalter: Pädia

Die Erdnussallergie anpacken

— Aktuelle Daten, die auf dem diesjährigen Kongress der European Academy of Allergy and Clinical Immunology (EAACI) in Prag vorgestellt wurden, zeigen, dass sich unter einer Behandlung der Erdnussallergie mit einem Erdnuss-Allergen-Pulver (Palforzia®) die gesundheitsbezogene Lebensqualität der Kinder und Jugendlichen tendenziell verbessert. Weitere Daten deuten auf eine erhöhte Zufriedenheit mit dem Komfort und der Wirksamkeit der Behandlung. Die Ergebnisse stammen aus den Phase-III-Studien PALISADE, ARC004, ARTEMIS, RAMSES und ARC011.

Das Erdnuss-Allergenpulver ist seit Ende 2021 in der EU als orale Immuntherapie (OIT) zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen in einem Alter von vier bis 17 Jahren mit bestätigter Diagnose einer Erdnussallergie zugelassen. Es ist nicht zur Notfallbehandlung von allergischen Reaktionen, einschließlich einer Anaphylaxie, indiziert und muss immer in Verbindung mit einer Erdnussvermeidungsdiät angewendet werden. *red*

Nach Informationen von Aimmune