

## Einmal-Gentherapie bei SMA auch bei Kindern bis 21 Kilogramm sicher

— Die Zulassung von Onasemnogen-Abepravovec (Zolgensma®) bei spinaler Muskelatrophie (SMA) im Mai 2020 stützte sich auf Daten zu Kindern mit einem Körpergewicht von weniger als 8,5 kg [Day JW et al. Lancet Neurol. 2021;20:284-93; Mendell JR et al. N Engl J Med. 2017;377:1713-22]. Die finalen Ergebnisse der SMART-Studie erweitern nun die bereits vorliegenden Erfahrungen zur Sicherheit und Wirksamkeit der Einmal-Gentherapie auf schwerere Kinder mit einem Körpergewicht von mehr als 8,5 und bis zu 21 kg [Mc Millan HJ et al. 28. Jahrestagung World Muscle Society, Charleston 2023, Präsentation O20]. Wie Prof. Dr. Günther Bernert, Kinderarztpraxis Schumannngasse, Wien, Österreich, berichtete, schloss die Studie 24 Kinder im Alter zwischen 1,5 und 9,1 Jahren ein. 45,8% von ihnen wiesen eine SMA Typ 2 und 75,0% drei SMN2-Genkopien auf. 79,2% waren mit Nusinersen und 8,3% mit Risdiplam vorbehandelt.

Häufigkeit und Schwere unerwünschter Ereignisse waren in den drei ausgewerteten Gewichtsklassen ( $\geq 8,5$  bis  $\leq 13$  kg,  $> 13$  bis  $\leq 17$  kg und  $> 17$  bis  $\leq 21$  kg) ähnlich. Bei 83,3% wurden hepatotoxische Nebenwirkungen beobachtet. Mit Ausnahme eines Falles mit Verlängerung der Prothrombinzeit handelte es sich um meist asymptomatische Anstiege der Lebertransaminasen,

die mit der Steroid-Begleitmedikation beherrschbar waren und komplikationslos verliefen. „Keines der Kinder ist verstorben oder vorzeitig aus der Studie ausgeschieden“, so Bernert. Bei älteren und schwereren Kindern sei dennoch ein engmaschiges Monitoring geboten. Hinsichtlich der Wirksamkeit blieben alle vor Durchführung der Gentherapie erreichten motorischen Meilensteine bei 23 der 24 Kinder während der einjährigen Nachbeobachtungszeit erhalten. Vier Kinder erreichten mindestens einen weiteren Meilenstein.

Dr. Claudia Weiß, Klinik für Pädiatrie mit Schwerpunkt Neurologie, Charité – Universitätsmedizin Berlin, präsentierte Ergebnisse einer in Deutschland und Österreich durchgeführten Kohortenstudie mit 76 Kindern mit SMA im Alter von 0,8–59 Monaten zum Zeitpunkt der Gentherapie. Übereinstimmend mit anderen Daten ist die Wirksamkeit der Gentherapie den Ergebnissen zufolge umso besser, je jünger die Kinder zum Zeitpunkt der Behandlung sind [Weiß C et al. Lancet Child Adolesc Health. 2022, 6:17-27]. *Dr. Matthias Herrmann*

Lunch-Symposium „Spotlight Gentherapie: neue Daten bei kleinen und großen Patient\*innen mit spinaler Muskelatrophie (SMA)“, 48. Jahrestagung der Gesellschaft für Neuropädiatrie (GNP), Dortmund (und virtuell), 16.11.2023; Veranstalter: Novartis

## STIKO-Empfehlung für MenB-Impfung

— Die Ständige Impfkommission (STIKO) hat die Impfung gegen Meningokokken B (MenB) mit dem Impfstoff 4CMenB (Bexsero®) für Säuglinge ab zwei Monaten empfohlen. Für den Schutz gegen die seltene, aber schwere Erkrankung werden drei Impfstoffdosen im Alter von zwei, vier und zwölf Monaten empfohlen. Die MenB-Impfung solle möglichst an einem Termin zusammen mit anderen für diesen Zeitpunkt empfohlenen Impfungen erfolgen. Die gleichzeitige Gabe der verschiedenen Impfungen ist laut STIKO sicher und beeinträchtigt die Wirksamkeit der einzelnen Impfstoffe nicht. Die Empfehlung schließt Nachholimpfungen bis zum fünften Ge-

burtstag ein. Bis zur offiziellen Aufnahme in die Schutzimpfungsrichtlinie, die die Impfung zur Pflichtleistung für alle gesetzlichen Krankenkassen macht, dauere es erfahrungsgemäß einige Monate, so Hersteller GSK in einer Mitteilung. Viele gesetzliche Krankenkassen würden aber – wie bisher – auf freiwilliger Basis erstatten. Bis auf Weiteres sei daher eine Verordnung auf Privat Rezept und proaktives Nachfragen durch die Eltern bei der Krankenkasse zur individuellen Erstattung nötig. Private Krankenversicherungen würden die Kosten in der Regel ab sofort übernehmen, so GSK. *red*

Nach Informationen von GSK

## Schluckhilfe als Option bei Lieferengpässen von Fiebersäften

Auch in diesem Winter treten Lieferengpässe bei Fieber- oder Antibiotikasäften für Kinder auf. Muss deswegen beispielsweise auf Antibiotikatabletten ausgewichen werden, kann es zu Problemen mit der Compliance kommen, da Kinder vielfach Schwierigkeiten mit dem Schlucken von Tabletten haben. Auch der oftmals bittere Geschmack kann zur Verweigerung der Einnahme führen. In solchen Fällen kann die Schluckhilfe Medcoat® zum Einsatz kommen, regt das Unternehmen Hennig an. Mit Medcoat® werden Tabletten oder Kapseln mit einem glatten und speichelanregenden Überzug versehen, der das Schlucken erleichtert. Auch geteilte Tabletten mit scharfen Bruchkanten können ummantelt werden. Der Überzug überdeckt zudem einen eventuell vorhandenen bitteren Eigengeschmack und ersetzt ihn durch ein Zitronenaroma. Die Schluckhilfe ist für Kinder ab vier Jahren geeignet. *red*

Nach Informationen von Hennig

## „Fit für Deine Schule“-Turnbeutel

Das Unternehmen Dr. Loges bietet Kinder- und Jugendärzten Produktproben von immunLoges® Saft und vitamin D-Loges® 5.600 I.E. Kids zusammen mit Informationen zum Schulstart in einem Turnbeutel an. Auf [www.paed-direct.de](http://www.paed-direct.de) können registrierte Kinder- und Jugendärzte jeweils zwölf „Fit für Deine Schule“-Turnbeutel bestellen. Das Unternehmen schlägt vor, den Turnbeutel bei der U9-Untersuchung zu überreichen. Die Aktion läuft bis Ende Februar 2024. *red*

Nach Informationen von Dr. Loges

## Omeprazol-Suspension eingeführt

Das Unternehmen InfectoPharm hat den Säurestopper OPPI® 2 mg/ml Suspension (Omeprazol) eingeführt. Der flüssige Protonenpumpenhemmer wurde speziell für pädiatrische Patienten mit PEG/NG-Sonden und Kleinkinder entwickelt, die an gastroösophagealer Refluxkrankheit leiden. OPPI® 2 mg/ml ist der einzige Protonenpumpenhemmer, der für Säuglinge ab einem Monat zugelassen ist und eine Dosistitration unter 10 mg ermöglicht. *red*

Nach Informationen von Infectopharm