

In der prospektiven, multizentrischen Beobachtungsstudie PERADON wurde die Wirksamkeit und Verträglichkeit von Perampanel als erste bzw zweite Zusatztherapie bei 42 bzw. 71 Patienten ≥ 12 Jahre mit fokaler Epilepsie untersucht [4]. Nach zwölf Monaten lag die Retentionsrate bei 81 %, die Responder-rate bei 76 % (1. Zusatztherapie) bzw. 63 % (2. Zusatztherapie), Anfallsfreiheit erreichten 38 % bzw. 20 %. Die mittlere Dosis lag bei 6 mg/Tag. Bei der Kombination mit/ohne Levetiracetam sowie mit/ohne Natriumkanalblocker zeigten sich keine Unterschiede in der Verträglichkeit. Im Studienverlauf konnte die Therapie bei 24 % der Patienten mit einer Reduktion der begleitenden Antiepileptika im Median von zwei auf ein Begleitmedikament vereinfacht werden. Bei langsamer Aufdosierung (2 mg/Tag alle zwei Wochen) war die Retentionsrate deutlich höher als bei wöchentlicher Titration (87 % versus 53 %) und die Inzidenz behandlungsbezogener Nebenwirkungen weniger als halb so hoch (24 % versus 53 %).

Perampanel im frühen Kindesalter

Seit November 2020 kann Perampanel nun auch als Zusatztherapie bei Kindern

ab vier Jahren mit fokalen Anfällen (mit oder ohne sekundäre Generalisierung) sowie bei Kindern ab sieben Jahren mit primär generalisierten tonisch-klonischen Anfällen (pGTKA) bei idiopathischer generalisierter Epilepsie (IGE) eingesetzt werden; vorher lag die Altersgrenze bei zwölf Jahren. Relevant für die Zulassungserweiterung waren unter anderem die Ergebnisse der offenen einarmigen Phase-III-Studie 311 [3]. Eingeschlossen wurden 180 Kinder im Alter von ≥ 4 bis < 12 Jahren. Die mittlere Tagesdosis lag bei 7 mg/Tag. Schwerwiegende therapiebezogene unerwünschte Ereignisse kamen bei 15 % der Kinder vor, davon betrafen 7,2 % das Nervensystem, 1,1 % waren psychiatrische Nebenwirkungen. Die Anfallsfrequenz konnte nach 28 Tagen um 40 % (fokale Anfälle), 59 % (fokale Anfälle mit sekundärer Generalisierung) und 69 % (pGTKA) reduziert werden. Die Responderraten lagen zwischen 47 % und 65 %; Anfallsfreiheit erreichten zwischen 12 % und 55 %. Erste Real-World-Erfahrungen über einen Zeitraum von zwei Jahren an 203 jungen Patienten (4 bis < 12 Jahre) mit verschiedenen Anfallsarten und bis zu drei oder mehr antiepileptischen Begleitmedikamenten lieferte die multizentrische, nichtinterventionelle, retro-

spektive Phase-IV-Studie PROVE 506 [2]. Sie bestätigte die gute Verträglichkeit von Perampanel mit therapiebezogenen Nebenwirkungen von 31,5 %, darunter Aggression (6,9 %) und Reizbarkeit (3 %). Die mittlere maximale Dosis von Perampanel lag bei 5,3 mg/Tag. 60 % der Kinder waren nach einem Jahr noch in Therapie mit Perampanel.

Quelle

Dr. Stephan Arnold, München, Priv.-Doz. Dr. med Thomas Bast, Kehl-Kork, im Rahmen des 14. Valentinsymposium (online), 27. Februar 2021, veranstaltet von Eisai.

Literatur

1. Bertol-Alegre V, et al. Poster-Präsentation AES 2018.
2. Chez M, et al. Poster presented at the 73rd Annual Meeting of the American Epilepsy Society 2019.
3. Fogarasi A, et al. *Epilepsia* 2020;61:125–37.
4. Jaramillo JA, et al. *Epil Behav* 2020;102:106655
5. Kurth C, et al. *Seizure* 2017;45:47–51.
6. Meschede C, et al. *Seizure* 2018;58:141–6.
7. Steinhoff BJ, et al. *Epilepsia* 2014;55(Suppl 1): 16–8.
8. Steinhoff BJ, et al. *Epilepsy Res* 2014;108:986–8.
9. Steinhoff BJ, et al. *Seizure* 2017;48:11–4.
10. Villanueva V, et al. *Epilepsy Res* 2016;126:201–10.

Neuromuskuläre Erkrankungen

„Wir alle wünschen uns gesunde Kinder“

Dr. Maja M. Christ, Stuttgart

Vom 23. bis 27. März 2021 fand der virtuelle Kongress des Wissenschaftlichen Beirats der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e. V. (DGM) statt. Auf der Pressekongferenz am 24. März wurde über wichtige Errungenschaften, aber auch über Herausforderungen diskutiert.

SMA bald im Neugeborenen-Screening?

Eine der wichtigen Errungenschaften des Jahres 2020 ist sicherlich, dass

die Untersuchung auf spinale Muskelatrophie (SMA) in das Neugeborenen-Screening aufgenommen werden soll, wie *Stefan Perschke, Osnabrück*, berich-

tete. In Pilotprojekten in Deutschland ließ sich zeigen, dass eine zuverlässige Erkennung von Kindern mit SMA im Screening möglich ist und durch die rechtzeitige Behandlung eine deutlich bessere Prognose erreicht wird.

Welche Auswirkungen hat die Corona-Pandemie?

Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen benötigen Unterstützung im Alltag. Das Pflegepersonal für diese Patientengruppe wurde Perschke zufolge von der Politik zunächst komplett vernachlässigt. Die DGM konnte inzwischen erreichen, dass Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen in die

Impfpriorisierungsgruppe 2 aufgenommen wurden. Auch Pflegenden für Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen wurden hochgestuft.

Fortschritte bei der SMA

Ulrike Schara-Schmidt, Essen, betonte in ihrem Statement, dass es inzwischen für Kinder mit SMA erstmals Arzneimittel gibt, die die Prognose und den Verlauf betroffener Patienten verbessern oder zumindest die Progression bremsen können. Durch die Möglichkeit des Neugeborenen-Screenings in Kombination mit einer Therapie mit Nusinersen oder Onasemnogen-Abeparvovec sehe man erstmals klinisch gesunde Kinder – das sei eine dramatische Entwicklung im positiven Sinne.

„Eine Gentherapie ist kein singuläres Ereignis“, erklärte der Tagungspräsident Julian Grosskreutz, Jena. Genauso wichtig wie die Kostenkalkulation bei der medikamentösen Therapie ist Schara-Schmidt zufolge jedoch die der multi-

disziplinären Nachbetreuung – hier ist die Kostenübernahme durch die Krankenkassen schwieriger.

Welche Behandlung für welches Kind infrage kommt, ist individuell zu entscheiden, da weiterhin vergleichende Untersuchungen fehlen. Bislang sei es schwer, vorzusagen, wie ein individueller Patient reagiert. Auch mache es einen Unterschied, ob eine SMA bei einem 10 Tage alten Kind im Neugeborenen-Screening diagnostiziert wird oder bei einem drei oder vier Jahre alten Kind.

Myasthenie-Patienten in der Regel gut behandelbar

Grosskreutz erläuterte, wie schwierig die Therapie für Patienten mit Myasthenie sei – trotz vorhandener Arzneimittel. Auch hier sei nicht vorhersehbar, welche Patienten gut und langfristig auf ihre Medikation ansprechen. Man sei es den Kostenträgern jedoch schuldig, sehr genau zu prüfen, ob ein Arzneimittel wirke.

Ausblick

Es sind Hoffnungsträger für ein selbstständiges Leben betroffener Patienten auf dem Markt, doch nicht jeder profitiert gleichermaßen von den vorhandenen Medikamenten. Die mediale Berichterstattung etwa zu den Erfolgen bei der SMA weckt auch bei Patienten mit anderen Muskelerkrankungen Hoffnung. Doch bis es hier vergleichbare (Gen-)Therapien geben wird, ist es noch ein weiter Weg.

Quelle

Priv.-Doz. Dr. med. Julian Grosskreutz, Jena, Dr. iur. Stefan Perschke, Osnabrück, Prof. Dr. Ulrike Schara-Schmidt, Essen, DGM-Online-Presskonferenz „Gentherapien – neue Chancen bei neuromuskulären Erkrankungen“ im Rahmen des 25. Kongresses des Wissenschaftlichen Beirats der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke e. V. am 24. März 2021.

Aufmerksamkeitsdefizit-/Hyperaktivitätsstörung

Neue Entwicklungen beim Management der ADHS

Christine Vetter, Köln

ADHS ist nicht gleich ADHS – die Problemlage ist bei den jeweiligen Patientengruppen recht unterschiedlich. Inwieweit vor allem bei Kindern und Jugendlichen eine digitale Unterstützung der Therapie möglich ist, wurde beim ADHS-Frühjahrs-Update 2021 dargestellt. Dort wurde ferner die besondere Situation bei Frauen mit ADHS diskutiert.

Die modernen digitalen Möglichkeiten nehmen zunehmend Einzug in die Behandlung und Betreuung von Patienten mit chronischen Erkrankungen. Ein Beispiel stellt die Aufmerksamkeitsdefizit-/Hyperaktivitätsstörung (ADHS) bei Kindern und Jugendlichen dar, deren Behandlung offenbar gut durch digitale Angebote zu unterstützen ist.

So wurden mittlerweile vielfältige Optionen entwickelt, die gezielt auf die Situation von Kindern und Jugendlichen sowie deren Eltern zugeschnitten sind. Sie können dazu beitragen, Probleme in der Therapiesitzung besser bearbeiten zu können. Einzelne Angebote erlauben es ferner, konkrete Therapieaufgaben im Alltag konsequenter umzusetzen.

Außerdem können mittels virtueller Optionen die Selbsthilfemöglichkeiten der Kinder und Jugendlichen sowie ihrer Eltern und weiterer Bezugspersonen verbessert werden und die Therapie kann insgesamt interessanter gestaltet werden. Die Patienten können dabei über unterschiedliche Medien erreicht werden. Die Palette reicht vom herkömmlichen Computer über das Internet, das Smartphone und das Telefon bis hin zur virtuellen Realität – beispielsweise in Form eines virtuellen Klassenzimmers, in dem die reale Schulsituation imitiert werden kann.

Telefonassistierte und internetbasierte Selbsthilfe

Der Einstieg in die digitale Unterstützung der Behandlung erfolgte seinerzeit über die telefonassistierte Selbsthilfe für Eltern von Kindern mit ADHS. Im Grunde geht es hierbei um eine per Telefon angeleitete Selbsthilfe, die sich ge-