

Neue Arzneimittel

DAZ Beilage | Wissenschaftliche Beratung: Prof. Dr. Dr. Ernst Mutschler | Frankfurt/Main
Redaktion: Dr. Monika Neubeck (verantwortlich)

106 SYK-INHIBITOR

Fostamatinib

Erwachsene mit chronischer Immunthrombozytopenie können nun mit Fostamatinib (Tavlesse[®]) behandelt werden. Die peroral verfügbare Substanz führt zu einer Hemmung der Milz-Tyrosinkinase SYK und ist für Patienten vorgesehen, die gegen andere Behandlungsarten therapieresistent sind. In klinischen Studien wurden bei immerhin 18% der Behandelten ausreichend hohe und stabile Thrombozytenzahlen erreicht. In der Placebo-Gruppe waren es nur 2% der Teilnehmer.

110 GENTHERAPIE

Onasemnogen-Abeparvovec

Das Gentherapeutikum Onasemnogen-Abeparvovec (Zolgensma[®]) ist zur Behandlung von Patienten mit 5q-assoziiierter spinaler Muskelatrophie (SMA) und einer biallelischen Mutation im Survival-Motoneuron-1-Gen (SMN1) indiziert. Der virale Vektor wird nur einmalig intravenös verabreicht und kann bei Patienten eingesetzt werden, die unter einer klinisch diagnostizierten Typ-I-SMA leiden oder neben der Mutation im SMN1-Gen nur bis zu drei Kopien des SMN2-Gens besitzen.