

KURZ INFORMIERT

Anämieansprechen ist bei Myelofibrose prognoserelevant

Bei Myelofibrose (MF) geht ein Transfusionsbedarf mit einer schlechteren Prognose einher. Die Therapie mit Momelotinib (Omjjara®, GSK) führt bei JAK-Inhibitor-naiven wie Ruxolitinib-vorbehandelten Patientinnen und Patienten mit MF im direkten Vergleich zu anderen Wirkstoffen zu deutlichen Verbesserungen der Anämie und hinsichtlich des Transfusionsbedarfs.

Nach einer post-hoc-Analyse der Zulassungsstudien SIMPLIFY-1 und MOMENTUM haben Betroffene unabhängig von der Schwere der Anämie zu Beginn und unabhängig von der Vorbehandlung ein numerisch längeres Gesamtüberleben (OS), wenn sie mit Momelotinib bis zur 24. Woche Hb-Werte > 10 g/dl erreichen und nicht erst später. Mehr Patientinnen und Patienten mit moderater Anämie zeigten ein derart rasches Hb-Ansprechen, berichtete Dr. med. Francesca Palandri, Leiterin der hämatologischen Universitätsklinik in Bologna, anlässlich des Kongresses der European Hematology Association EHA2025. Das unterstützte einen frühen Einsatz bei Anämie im Rahmen einer MF.

In der SIMPLIFY-1-Studie benötigten die meisten JAK-Inhibitor-naiven Patientinnen und Patienten unter Momelotinib im Gegensatz zur Ruxolitinib-Kontrollgruppe bei Milzansprechen auch keine Transfusionen mehr. Die Transfusionsunabhängigkeit war ein stärkerer Prädiktor für das Gesamtüberleben als die Splenomegalie, erläuterte Palandri. **fk**

Quelle: Satellitensymposium „Importance of Early Treatment of Anemia in Patients with Myelofibrosis“, 14. Juni 2025; Veranstalter: GSK

RNAi-Therapie reduziert kardiovaskuläre Ereignisse

Die Europäische Kommission hat die Zulassung für die Behandlung der Wildtyp- oder hereditären Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit Kardiomyopathie (ATTR-CM) als zusätzliche Indikation für das Orphan-RNAi-Therapeutikum Vutrisiran (AMVUTTRA®, Alnylam) erteilt. Damit ist Vutrisiran nun das erste und einzige RNAi-Therapeutikum, das von der Europäischen Kommission zur Behandlung der hereditären Transthyretin-vermittelten Amyloidose mit

Polyneuropathie als auch der Wildtyp- und hereditären ATTR-Amyloidose mit Kardiomyopathie bei Erwachsenen zugelassen ist.

In der Gesamtpopulation der globalen, randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten, multizentrischen Phase-3-Studie HELIOS-B erzielte Vutrisiran eine 28%ige Reduktion des kombinierten primären Endpunkts von wiederkehrenden kardiovaskulären Ereignissen und Gesamtmortalität im Vergleich zu Placebo. Die Gesamtmortalität in dieser Population war in einer vordefinierten sekundären Endpunktanalyse, die bis zu 36 Monate der doppelblinden Phase sowie 6 Monate der offenen Verlängerung umfasste, nach insgesamt 42 Monaten signifikant um 36 % reduziert.

In HELIOS-B waren die Raten unerwünschter Ereignisse (UE), schwerwiegender UE, schwerer UE und UE, die zum Abbruch der Studienmedikation führten, zwischen den AMVUTTRA- und Placeboarmen vergleichbar. Unerwünschte Arzneimittelwirkungen von AMVUTTRA sind Reaktionen an der Injektionsstelle und Erhöhungen der alkalischen Phosphatase und Alanin-Aminotransferase. **mr**

Quelle: Pressemitteilung Alnylam, 11. Juni 2025

Erstes Adrenalin-Nasenspray zur Behandlung von Anaphylaxien

Das adrenalinhaltige EURneffy® 2 mg Nasenspray (ALK-Abelló) zur Notfallbehandlung bei allergischen Reaktionen (Anaphylaxie) wurde kürzlich von der Europäischen Kommission zugelassen und verfügt in der EU über eine Zulassung zur Notfallbehandlung allergischer Reaktionen durch Insektenstiche/-bisse, Lebensmittel, Medikamente und andere Allergene sowie idiopathische oder belastungsinduzierte Anaphylaxie für Erwachsene und Kinder (≥ 30 kg).

Es kombiniert den bekannten Wirkstoff Adrenalin mit geeigneten Adjuvantien und wird über eine kompakte, nichtinvasive Nasal-Applikation verabreicht. Dieses neu entwickelte Adrenalin-Nasenspray erzielt klinisch-pharmakologische Ergebnisse, die mit denen von Adrenalin-Autoinjektoren (AAI) vergleichbar sind. Klinische Daten zeigen, dass EURneffy® nasal gut resorbiert und rasch im Körpergewebe verteilt wird.

Die umfangreichen klinisch-pharmakologischen Daten zur 2-mg-Dosierung von EURneffy® waren mit denen von AAI vergleichbar, wobei Pharmakodynamik und Pharmakokinetik unter verschiedenen Bedingungen untersucht wurden: einmalige und wiederholte Verabreichung, Selbstanwendung durch Patientinnen und Patienten, Anwendung im pädiatrischen Setting sowie bei unterschiedlichen nasalen Beschwerden und Funktionsstörungen, die zu angeschwollenen Nasenschleimhäuten und Rhinorrhoe führen, wie zum Beispiel allergische oder infektiöse Rhinitis aufgrund einer Erkältung oder Grippe. Auch hier hielt EURneffy® dem Vergleich mit AAI stand. **mr**

Quelle: Pressemitteilung ALK, 26. Juni 2025

Orale First-Line-Systemtherapie für Kinder ab 6 mit Psoriasis

Chronisch-entzündliche Hauterkrankungen wie Psoriasis (PsO), atopische Dermatitis (AD) und Hidradenitis suppurativa (HS) belasten Betroffene durch sichtbare Hautveränderungen und eine erheblich eingeschränkte Lebensqualität. Hinzu kommen Komorbidität und eine zum Teil verkürzte Lebenserwartung.

Die Zulassungserweiterung von Apremilast (Otezla®, Amgen) für Kinder ab 6 Jahren mit mittelschwerer bis schwerer Psoriasis basiert auf den Ergebnissen der multizentrischen, randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Phase-3-Studie SPROUT. Der primäre Endpunkt – sPGA 0/1 mit ≥ 2 Punkten Verbesserung – wurde signifikant häufiger unter Apremilast erreicht (33,1 % versus 11,5 %; p < 0,0001). Auch beim sekundären Endpunkt PASI-Reduktion von ≥ 75 % (PASI 75) zeigte sich zu Woche 16 eine deutliche Überlegenheit gegenüber Placebo (45,4 % versus 16,1 %; p ≤ 0,0001). Ein Viertel der Patientinnen und Patienten (25,2 %) erreichte einen PASI 90 zu Woche 16 (versus 4,9 % unter Placebo; p ≤ 0,0001). In der SPROUT-Verlängerungsstudie konnte das sPGA-Ansprechen bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten unter Apremilast über einen Zeitraum von bis zu 104 Wochen erfolgreich aufrechterhalten werden. **mr**

Quelle: Pressemitteilung Amgen, 16. Juni 2025