

Medikament zur Behandlung von Bewegungssymptomen der Huntington-Krankheit durch die FDA zugelassen

Die FDA hat Valbenazin, auch bekannt als INGREZZA, zur Behandlung der Bewegungssymptome der Huntington-Krankheit zugelassen

Von Dr Leora Fox und Dr Rachel Harding | 23. August 2023

Bearbeitet von Dr Rachel Harding | Übersetzt von Rebecca

Ursprünglich veröffentlicht am 22. August 2023

Die große Mehrheit der Menschen mit der Huntington-Krankheit leidet unter Bewegungsstörungen, die als Chorea bezeichnet werden. Valbenazin, auch bekannt als INGREZZA, wurde vor kurzem von der US-amerikanischen Gesundheitsbehörde FDA (Food and Drug Administration) zugelassen, so dass Ärzte in den USA dieses Medikament zur Behandlung der Chorea bei Chorea der Huntington-Krankheit verschreiben können. In diesem Artikel gehen wir auf die wichtigsten Punkte dieser Ankündigung ein und erläutern, was dies für Angehörige von Huntington bedeutet.

Hintergrundinformationen zu Valbenazin

INGREZZA ist der Handelsname von Valbenazin, einem von der Firma Neurocrine Biosciences entwickelten Medikament. Es wirkt ähnlich wie Tetrabenazin und Deuterbenazin (Austedo), Medikamente, die häufig verschrieben werden, um die unwillkürlichen Zuckungen oder ruckartigen Bewegungen zu kontrollieren, die bei Menschen mit Huntington auftreten.



Die "Food and Drug Administration" (FDA) ist in den USA als Behörde für die Zulassung von

Arzneimitteln zuständig, die sich nach strengen klinischen Studien als sicher und wirksam für die Behandlung von Krankheiten erwiesen haben.

Die Behandlung mit diesen Medikamenten blockiert ein Protein namens VMAT2, das für die Verpackung bestimmter chemischer Stoffe verantwortlich ist, die die Gehirnzellen zur Kommunikation nutzen. VMAT2 hilft dabei, den chemischen Botenstoff Dopamin (neben anderen) in Blasen zu verpacken, die von Zelle zu Zelle wandern. Dopamin spielt eine Rolle in den Bewegungskreisläufen unseres Gehirns, und man nimmt an, dass die Blockierung von VMAT2 die Überschneidungen abschwächen kann. Warum dies zu einer Verbesserung der unregelmäßigen und unwillkürlichen Bewegungen führt, ist nicht klar, aber diese Medikamente wirken bei vielen Menschen mit Chorea.

Valbenazin ist in den USA seit 2017 für die Behandlung von tardiven Dyskinesien (TD) zugelassen, d. h. von unwillkürlichen Bewegungen, die auf die Einnahme von Medikamenten, sogenannten Neuroleptika oder Antipsychotika, zurückzuführen sind. Antipsychotika werden von vielen Menschen weltweit eingenommen, um die psychiatrischen und Verhaltenssymptome von bipolaren Störungen, Schizophrenie und anderen Krankheiten (einschließlich Huntington) zu behandeln. Nach längerer Einnahme dieser Medikamente entwickeln manche Menschen TD, die häufig mit Zuckungen der Mund- und Gesichtsmuskeln einhergeht. Valbenazin (INGREZZA) kann bei der Kontrolle dieser unwillkürlichen Bewegungen hilfreich sein. Neurocrine begann daher zu untersuchen, ob es auch bei Chorea, die durch die Huntington-Krankheit verursacht wird, wirksam sein könnte.

Erprobung und Zulassung von Valbenazin für Menschen mit Huntington

Da Valbenazin bei Menschen mit Huntington-Krankheit getestet und mehrere Jahre lang verschrieben worden war, wussten wir bereits, dass es beim Menschen sicher ist. Es war jedoch noch eine klinische Studie erforderlich, um herauszufinden, ob es die Chorea der Huntington-Krankheit wirksam behandeln kann. In Zusammenarbeit mit der Huntington Study Group führte Neurocrine eine klinische Phase-3-Studie mit dem Namen KINECT-HD durch, die im Jahr 2020 begann. 128 Personen nahmen daran teil; die Hälfte erhielt 12 Wochen lang einmal täglich Valbenazin-Kapseln, die andere Hälfte ein Placebo (eine Pille ohne Medikament). Die Teilnehmer wurden eingeladen, an einer längeren, laufenden Studie namens KINECT-HD2 teilzunehmen, bei der alle Teilnehmer Valbenazin erhalten.

KINECT-HD war ein Erfolg, da der primäre Endpunkt erreicht wurde, d. h. Valbenazin verringerte den Schweregrad der Huntington-bedingten Chorea im Vergleich zu Placebo. Es verbesserte den TMC-Score (Total Maximal Chorea), eine Messgröße, die Kliniker zur Überwachung der Chorea-Symptome verwenden. Dieses "Top-Line"-Ergebnis wurde 2021 veröffentlicht, und seither hat Neurocrine seine Studien fortgesetzt und die Daten aus den beiden HD-Studien mit Valbenazin analysiert, präsentiert und aufbereitet. Im Dezember

2022 wurden die Daten der FDA vorgelegt, und am 18. August 2023 gab Neurocrine bekannt, dass INGREZZA von der FDA zugelassen wurde, was bedeutet, dass es nun offiziell in den USA zur Behandlung von Chorea bei Huntington verschrieben werden kann.

„KINECT-HD war ein Erfolg: Der primäre Endpunkt wurde erreicht, d. h. Valbenazin verringerte den Schweregrad der Huntington-bedingten Chorea im Vergleich zur Placebogruppe.“

Es kann einige Zeit dauern, bis ein Medikament von der Zulassung über die Markteinführung bis zur allgemeinen Verschreibung gelangt, insbesondere bei einer seltenen Krankheit. Sobald sie grünes Licht erhalten haben, können die Unternehmen mehr Energie darauf verwenden, die medizinischen Fachkräfte und die Öffentlichkeit über eine neue Therapie aufzuklären. Bis Ende September wird das Bewusstsein der US-amerikanischen Ärzte wahrscheinlich gestiegen sein, aber es gibt bereits Ressourcen für Familienmitglieder, um mehr zu erfahren.

Was wissen wir sonst noch über Valbenazin?

Es ist wichtig zu wissen, dass INGREZZA das Fortschreiten der Huntington-Krankheit weder verlangsamt noch aufhält. Die Einnahme von Medikamenten zur Linderung von unwillkürlichen Bewegungen und anderen Symptomen der Huntington-Krankheit kann jedoch einen großen Einfluss auf die Lebensqualität haben. Für manche Menschen mit Huntington und ihre Angehörigen ist die Chorea nicht lästig, aber für andere kann sie die täglichen Aktivitäten und sogar die Sicherheit beeinträchtigen.

INGREZZA wird in Form einer einzigen Kapsel eingenommen, die einmal am Tag geschluckt wird. Dies ist ein positives Merkmal dieses Medikaments, da es für viele Menschen mit Huntington schwierig sein kann, sich an die Einnahme einer komplexen Reihe von Tabletten im Laufe des Tages zu erinnern. Ähnlich wie bei den "chemischen Vettern" von Valbenazin gibt es Möglichkeiten, die Verabreichung für Menschen mit Schluckbeschwerden oder mit einer Ernährungssonde zu modifizieren. Auch die Dosis kann im Laufe der Zeit verändert werden, je nachdem, wie gut jemand auf das Medikament anspricht und welche Nebenwirkungen auftreten. Neurocrine hofft, dass dies bedeutet, dass die Nebenwirkungen für eine größere Anzahl von Menschen, die dieses Medikament einnehmen, überschaubarer sind als bei anderen VMAT2-Targeting-Medikamenten.



INGREZZA wird in Form einer einzigen Tablette einmal täglich eingenommen, was es für Menschen mit Huntington einfacher machen kann, die Einnahme ihrer Medikamente im Griff zu behalten.

Quelle: Rodrigo Senna

Abwägen von Nebenwirkungen, Kosten und anderen Faktoren

Wie alle Medikamente hat auch Valbenazin einige Nachteile. VMAT2-Hemmer haben häufige Nebenwirkungen wie Schläfrigkeit. Sie können aber auch sehr schwerwiegende Nebenwirkungen haben, zu denen Depressionen sowie Selbstmordgedanken oder -handlungen gehören. Daher ist es sehr wichtig, dass Menschen mit Huntington, die die Einnahme von INGREZZA in Erwägung ziehen, ihrem medizinischen Betreuer ihre Krankengeschichte genau mitteilen und ihn so schnell wie möglich alarmieren, wenn sie Nebenwirkungen erfahren.

Neben den VMAT2-Hemmern gibt es eine Reihe von Medikamenten, die Ärzte zur Behandlung der Chorea und anderer Symptome verschreiben. So können beispielsweise einige Antipsychotika, die zur Behandlung der psychischen Gesundheit und des Verhaltens bei Huntington eingesetzt werden, auch eine beruhigende Wirkung auf die Bewegungen haben. Es gibt auch Überlegungen zu den Kosten, insbesondere in Ländern wie den USA, wo der Versicherungsschutz unterschiedlich sein kann oder ganz fehlt, weil es keine allgemeine Gesundheitsversorgung gibt. Unternehmen wie Neurocrine, die neue Medikamente auf den Markt gebracht haben, versuchen, dieses Problem über verschiedene Kanäle, einschließlich Hilfsprogrammen, zu lindern.

Es sei darauf hingewiesen, dass Teva im Mai dieses Jahres in den USA eine einmal täglich einzunehmende Version von Deuteroibenazin (Austedo XR) auf den Markt gebracht hat, was wahrscheinlich kein Zufall ist - Unternehmen mit Medikamenten zur Behandlung derselben Störung richten ihre Forschungsstrategien oft nach öffentlichem Wissen aus, z. B. nach der

bevorstehenden FDA-Zulassung eines anderen Unternehmens. Die Gründe für die Verschreibung oder Einnahme eines Medikaments im Vergleich zu einem anderen sind von Arzt zu Arzt und von Patient zu Patient unterschiedlich. Jeder spricht anders auf Medikamente an, und die Kostenübernahme und die Zulassungen sind von Land zu Land sehr unterschiedlich.

„Die Verfügbarkeit mehrerer Behandlungen der Chorea schärft das öffentliche Bewusstsein für Huntington... und vergrößert die Wahlmöglichkeiten für Huntington-Familienmitglieder bei ihren medizinischen Entscheidungen“

Die Botschaft zum Mitnehmen

Während wir auf Behandlungen warten, die das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen können, können Medikamente wie INGREZZA die Lebensqualität verbessern und sind eine willkommene Ergänzung unseres Arsenal an Mitteln zur Bekämpfung der Huntington-Krankheit. Die Zulassung von Valbenazin in den USA ist eine gute Nachricht für die Huntington-Gemeinschaft. Sie schärft das öffentliche Bewusstsein für die Huntington-Krankheit und schafft einen gesunden Wettbewerb, um Kosten niedrig zu halten. Am wichtigsten ist jedoch, dass die Verfügbarkeit mehrerer Chorea-Therapien den Angehörigen von Huntington-Patienten mehr Wahlmöglichkeiten bei ihren Entscheidungen über die medizinische Versorgung bietet.

Außerhalb der USA werden jedoch nur Studienteilnehmer der KINECT-HD-Studien Zugang zu diesem Medikament erhalten, und Neurocrine hat noch nicht bestätigt, dass es sich um eine Zulassung in anderen Ländern bemüht. Das Unternehmen plant allerdings, sich in naher Zukunft mit einem öffentlichen Webinar für die Huntington-Gemeinschaft direkt an die Öffentlichkeit zu wenden.

HDBuzz hofft, dass alle Unternehmen, die Huntington-Therapien entwickeln, sich für den weltweiten Zugang zu Medikamenten einsetzen, die die Lebensqualität von Betroffenen verbessern können.

Leora Fox arbeitet bei der Huntington's Disease Society of America, die Beziehungen und Geheimhaltungsvereinbarungen mit Unternehmen unterhält, die an Medikamenten für Huntington arbeiten, darunter Neurocrine Biosciences. Dieser Artikel wurde auf der Grundlage öffentlicher Informationen verfasst. Rachel Harding hat keine Konflikte zu melden. [Weitere Informationen zu unserer Offenlegungsrichtlinie finden Sie in unseren FAQ](#)

...

GLOSSAR

Klinische Studie Sehr sorgfältig geplante Experimente werden erstellt, um spezifische Fragen darüber zu beantworten, wie ein Medikament sich auf den Menschen auswirkt.

Therapie Behandlungen

Placebo Ein Placebo ist ein Scheinmedikament, das keine Wirkstoffe enthält. Der Placeboeffekt ist ein psychologischer Effekt, der verursacht, dass sich Menschen besser fühlen, auch wenn sie eine Tablette einnehmen, die nicht wirkt.

Dopamin Eine signalgebende Chemikalie (Neurotransmitter), die in die Kontrolle der Bewegung, Stimmung und Motivation involviert ist.

Chorea Unwillkürliche, unregelmäßig ausladende Bewegungen, die bei der Huntington-Krankheit häufig auftreten

ALS Eine fortschreitende Nervenkrankheit, bei der Bewegungsneuronen absterben.

© HDBuzz 2011-2024. Die Inhalte von HDBuzz können unter der Creative Commons Attribution-ShareAlike 3.0 Unported License frei verbreitet werden.

HDBuzz ist keine Quelle für medizinische Ratschläge. Für weiterführende Informationen siehe hdbuzz.net

Erstellt am 18. Januar 2024 — Heruntergeladen von <https://de.hdbuzz.net/348>