

Orphan Diseases/seltene Erkrankungen

Neues Medikament gegen seltene Autoimmunerkrankungen

Menschen mit einem CAPS-Syndrom (Cryopyrin-assoziiertes periodisches Syndrom) leiden von Geburt auf an einer vererbten Entzündungserkrankung: Häufiges und sehr hohes Fieber sind die Folge, massive Hautausschläge am ganzen Körper sowie Entzündungen und starke Schmerzen in den Gelenken, teils assoziiert mit Schwerhörigkeit und neurologischen Degenerationen. Ein CAPS-Syndrom ist so selten, dass selbst Experten nicht genau sagen können, wie oft es auftritt. Weltweit sind weniger als 1000 Fälle bekannt – in der Schweiz gibt es schätzungsweise 10 bis 15 Patienten. Die Lebensqualität dieser Patienten ist stark eingeschränkt. Nun gibt es erstmals eine ebenso wirksame wie rasch wirkende Behandlung.

Die neue Antikörper-Therapie blockiert gezielt die Produktion des Botenstoffs Interleukin-1-beta und dessen entzündungsfördernde Wirkungen. Die Therapie wirkt oft von einem Tag auf den andern und ermöglicht den Patienten ein Dasein mit praktisch uneingeschränkter Lebensqualität.

An der Zulassungsstudie beteiligten sich 35 Frauen und Männer. Von diesen Patienten im Alter zwischen 9 bis 74 Jahren sprachen 34 so komplett auf eine einzige Antikörper-Injektion an, dass gar keine und bei einem Patienten nur noch eine minimale Krankheitsaktivität festgestellt wurden.

Positiv ist zudem, dass der Antikörper nicht nur rasch, sondern auch lang anhaltend wirkt, sodass Spritzen im Abstand von acht Wochen ausreichen, um die Krankheitsaktivität zu unterdrücken.

Der Botenstoff Interleukin-1-beta spielt auch bei einer Reihe weiterer Entzündungskrankheiten eine wichtige Rolle. Daher laufen derzeit Studien, die den Nutzen des Antikörpers bei der Behandlung weiterer Krankheiten untersuchen, zum Beispiel bei Gicht, Arthritis, Lungenkrankheiten wie die chronisch obstruktive pulmonale Erkrankung (COPD) oder auch bei Diabetes Typ 2.

Quelle: Novartis, Health & Science, November 2009