

DER ARZNEIMITTELBRIEF

Kein Zusatznutzen für Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie – anwendungsbegleitende Datenerhebung geplant

AMB 2022, **56**, 21

Die spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine neurodegenerative Erkrankung mit monogener Ursache, die zu einem irreversiblen Verlust von Motoneuronen führt (1, vgl. 9). Sie ist mit einer Inzidenz von ca. 1:10.000 die häufigste genetisch bedingte Todesursache bei Säuglingen. Bei der SMA führen Mutationen im „Survival-Motor-Neuron-1-Gen“ (SMN1) zu einem Mangel an SMN-Protein, das für die Motoneurone und die Bildung neuromuskulärer Verbindungen essenziell ist. Durch den Mangel an SMN-Protein kommt es zu einer irreversiblen Degeneration der Motoneurone in Hirnstamm und Rückenmark sowie zu einer Muskelatrophie. Ein zweites Gen, SMN2, ist für die Bildung einer geringen Menge von SMN-Protein verantwortlich. Menschen haben zwischen einer und sechs Kopien dieses Gens, und je mehr Kopien im individuellen Genom vorliegen, desto besser kann SMN2 den Ausfall von SMN1 kompensieren, sodass die Betroffenen später und weniger schwer erkranken. Je nach klinischem Verlauf werden vier Typen der SMA unterschieden.....[bitte Artikel abonnieren](#)

Alle Artikel zum Schlagwort: Spinale Muskelatrophie, Onasemnogen-Abeparvovec

Kein Zusatznutzen für Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie – anwendungsbegleitende Datenerhebung geplant [2022, 56, 21](#)

Arzneimittel mit erheblichem Zusatznutzen bei der frühen Nutzenbewertung 2021 [2022, 56, 15](#)

Kein Zusatznutzen für Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie – anwendungsbegleitende Datenerhebung geplant [2022, 56, 21](#)

DER ARZNEIMITTELBRIEF erscheint als unabhängige Zeitschrift ohne Werbeanzeigen der Pharmaindustrie. Er wird ausschließlich durch seine Leserinnen und Leser, d. h. durch die Abonnenten, finanziert. Wir bitten Sie deshalb um Verständnis, dass wir aktuelle Artikel nur auszugsweise veröffentlichen können.

Verlässliche Daten zu Arzneimitteln DER ARZNEIMITTELBRIEF informiert seit 1967 Ärzte, Medizinstudenten, Apotheker und Angehörige anderer Heilberufe über Nutzen und Risiken von Arzneimitteln.

DER ARZNEIMITTELBRIEF erscheint als unabhängige Zeitschrift ohne Werbeanzeigen der Pharmaindustrie. Er wird ausschließlich durch seine Leserinnen und Leser, d. h. durch die Abonnenten, finanziert. Wir bitten Sie deshalb um Verständnis, dass wir aktuelle Artikel nur

<p>Zuverlässige Fakten finden zum Studentenpreis</p> 	<p>DER ARZNEIMITTELBRIEF ist Mitglied in der</p>  <p>INTERNATIONAL SOCIETY OF DRUG BULLETINS</p>	<p>Werden Sie Abonnent!</p> <ul style="list-style-type: none">• 12 Ausgaben pro Jahr• Onlinezugang zum Archiv mit über 3000 Artikeln• 36 CME Punkte pro Jahr für Ihr Konto bei der Ärztekammer
--	--	---