

Journal für

Neurologie, Neurochirurgie und Psychiatrie

www.kup.at/
JNeuroINeurochirPsychiatr

Zeitschrift für Erkrankungen des Nervensystems

**Aktuelles: BECOME-Studie bei
therapierefraktärer Epilepsie
zeigt: Epidyolex® wird von
betreuenden Personen auch aufgrund
seiner Wirkung bei
nicht-anfallsbedingten Symptomen
wertgeschätzt**

Journal für Neurologie

Neurochirurgie und Psychiatrie

2024; 25 (2), 47-48

Homepage:

www.kup.at/

JNeuroINeurochirPsychiatr

Online-Datenbank
mit Autoren-
und Stichwortsuche

Indexed in
EMBASE/Excerpta Medica/BIOBASE/SCOPUS

Krause & Pachernegg GmbH • Verlag für Medizin und Wirtschaft • A-3003 Gablitz

P.b.b. 02Z031117M,

Verlagsort: 3003 Gablitz, Linzerstraße 177A/21

Preis: EUR 10,-

76. Jahrestagung

Deutsche Gesellschaft für Neurochirurgie DGNC

Joint Meeting mit der Französischen
Gesellschaft für Neurochirurgie



2025
1.–4. Juni
HANNOVER

www.dgnc-kongress.de

Im Spannungsfeld zwischen
Forschung und Patientenversorgung

PROGRAMM JETZT ONLINE EINSEHEN!



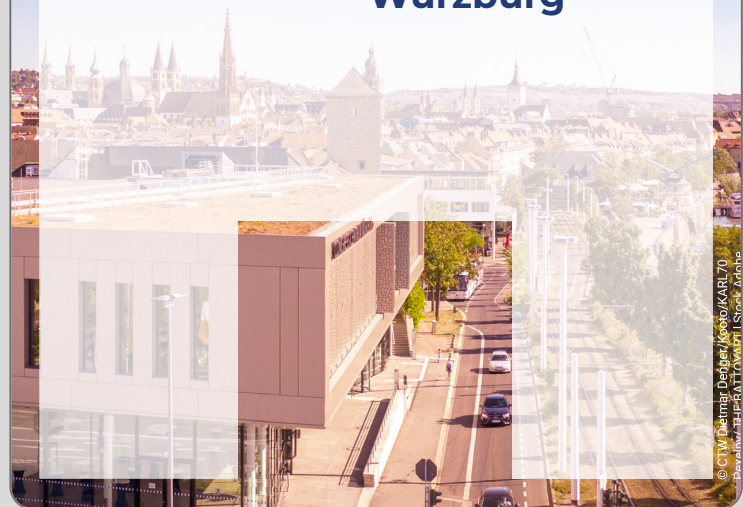
Deutsche
Gesellschaft für
Epileptologie



64. JAHRESTAGUNG

der Deutschen Gesellschaft für Epileptologie

10.–13. Juni 2026
Würzburg



© CIM Deimer Deizer, Kiesel/KARL 70
Bavaria, THEBATT/Westart | Stock Adobe

BECOME-Studie bei therapierfraktärer Epilepsie zeigt: Epidyolex® wird von betreuenden Personen auch aufgrund seiner Wirkung bei nicht-anfallsbedingten Symptomen wertgeschätzt

Das Cannabidiol-Fertigarzneimittel Epidyolex® hat in klinischen Phase-III-Studien seine Effektivität in Bezug auf die Anfallsreduktion bei Patienten mit Lennox-Gastaut- (LGS) und Dravet-Syndrom (DS) sowie bei Tuberöser Sklerose (TSC) gezeigt [1].

Im Versorgungsalltag wurden immer wieder auch positive, nicht anfallsbezogene Effekte der Therapie beobachtet [2].

In der BECOME-Studie [2], einer retrospektiven Umfrage bei Eltern und Betreuern von Patienten mit LGS bzw. DS, wurden diese nicht-anfallsbezogenen Effekte nun charakterisiert und quantifiziert.

Zusätzlich zur Anfallsreduktion profitierten die Patienten demnach in Bezug auf die Wachsamkeit, Kognition und exekutive Funktionen, emotionale Funktionen, Sprache und Kommunikation, Aktivitäten des täglichen Lebens sowie den Schlaf und körperliche Funktionen [2].

Insgesamt gaben 93 % der Eltern und Betreuer an, die Behandlung mit Epidyolex® fortsetzen zu wollen, in erster Linie wegen der geringeren Anfallsbelastung, aber auch wegen der Verbesserungen bei den anfallsunabhängigen Ereignissen [2].

Wien, 15. Februar 2024 – Das Lennox-Gastaut- und das Dravet-Syndrom sind seltene und schwerwiegende, entwicklungsbedingte und epileptische Enzephalopathien (DEE), die im Säuglingsalter oder in der frühen Kindheit beginnen [3, 4]. Die Patienten leiden unter mehreren Anfallstypen. Eine Gefahr stellt insbesondere der plötzliche unerwartete Tod bei Epilepsie (SUDEP) dar [3, 5–7]. Außerdem haben die Patienten häufig Komorbiditäten, die ihre alltäglichen Aktivitäten beeinträchtigen [8, 9]. LGS und DS stellen für die Patienten selbst, aber auch für ihre Betreuer – meist die Eltern –, eine erhebliche körperliche, finanzielle, soziale und psychologische Belastung dar [10–13]. Zu den Komorbiditäten gehören erhebliche lebenslange kognitive und kommunikative Beeinträchtigungen sowie Verhaltensauffälligkeiten [3, 7]. Die meisten Patienten mit LGS und DS sind aufgrund ihrer Beeinträchtigungen lebenslang auf die Hilfe von Pflegepersonen angewiesen [6, 12].

Während zur Reduktion von Anfällen bei LGS und DS eine Reihe von Medikamenten zur Verfügung steht [7, 14], ist deren Effekt auf nicht-anfallsbeding-

te Symptome oft nicht geklärt [2]. Zu Epidyolex® wurde wiederholt berichtet, dass sich die Therapie bei vielen Patienten positiv auf die Kognition und das Verhalten auswirkt und sich insgesamt die Lebensqualität verbessert [2].

Diesen Berichten wurde nun in der BECOME-Studie [2] systematisch nachgegangen. 498 Betreuer von Patienten mit LGS und DS wurden zu ihren Erfahrungen mit der Epidyolex®-Therapie befragt. Das Ausfüllen des Fragebogens dauerte etwa 20 Minuten und wurde online durchgeführt. 97 % der Befragten waren Eltern der Patienten. 80 % der Patienten hatten ein Lennox-Gastaut-Syndrom. Das Durchschnittsalter der Patienten betrug 16 Jahre (1 bis 73 Jahre). 52 % der Patienten waren männlich. Im Median nahmen die Patienten eine Dosis von 14 mg Cannabidiol pro kg Körpergewicht und Tag ein. Zusätzlich erhielten sie im Median 4 weitere Arzneimittel zur Anfallskontrolle.

Die Betreuer sollten sowohl Fragen zur Anfallshäufigkeit und -schwere als auch zu nicht-anfallsbedingten Symptomen beantworten. Es konnten nur diejenigen Betreuer an der Studie teilnehmen, deren

Patienten mindestens drei Monate lang eine Behandlung mit Epidyolex® erhalten hatten. Sie sollten ihre Erfahrungen des letzten Therapiemonats im Vergleich zu der Zeit vor Therapiebeginn mit dem Cannabidiol-haltigen Fertigarzneimittel beschreiben.

Ein großer Teil der Betreuer berichtete über mindestens einen nicht-anfallsbezogenen Effekt von Epidyolex®. Folgende Verbesserungen wurden dokumentiert: Wachsamkeit, Kognition und exekutive Funktionen (von 85 % der Betreuer), emotionale Funktionen (82 %), Sprache und Kommunikation (79 % bei nonverbalen Patienten und 74 % bei verbalen Patienten), Aktivitäten des täglichen Lebens (51 %), Schlaf (51 %) und körperliche Funktionen (46 %).

In Bezug auf die anfallsreduzierende Wirkung beobachteten die Betreuer eine Reduktion der Anfälle im Allgemeinen (85 %) und der Anfallsschwere im Allgemeinen (76 %). 67 % der Betreuer gaben auch an, dass es bei mindestens einem Anfallstyp zu einer Zunahme der anfallsfreien Tage pro Woche kam. 16 % der Befragten berichteten von einem anfallsfreien Monat. Die Mehrheit der Befragten, die eine Verringerung der Anfallshäufigkeit beobachteten, berichtete auch über Verbesserungen der nicht-anfallsbedingten Symptome (51 % bis 80 %). Es wurden jedoch auch Verbesserungen nicht-anfallsbedingter Symptome von denjenigen Betreuern berichtet, bei denen sich die Anfallshäufigkeit ihrer Patienten nicht verändert oder verschlechtert hatte (18 % bis 56 %).

Die Betreuer waren mit der Effektivität von Epidyolex® zufrieden: 93 % wollten die Behandlung damit fortsetzen – nicht nur wegen der anfallssuppressiven Wirkung, sondern auch aufgrund der Vorteile bei einem vielfältigen und ganzheitlichen Behandlungsansatz, der die krankheitsspezifischen Aspekte jenseits

der Anfallskontrolle inkludiert. Die Ergebnisse der BECOME-Studie geben Anlass, die nicht-anfallsbezogene Effektivität des Cannabidiol-Fertigarzneimittels weiter zu überprüfen.

Literatur:

1. Fachinformation Epidyolex®, Stand Mai 2023.
2. Berg AT et al. Caregiver-reported outcomes with real-world use of cannabidiol in Lennox-Gastaut syndrome and Dravet syndrome from the BECOME survey. *Epilepsy Res* 2024; 200: 107280.
3. Arzimanoglou A et al. Lennox-Gastaut syndrome: a consensus approach on diagnosis, assessment, management, and trial methodology. *Lancet Neurol* 2009; 8: 82–93.
4. Dravet C. The core Dravet syndrome phenotype. *Epilepsia* 2001; 52 (Suppl 2): 3–9.
5. Autry AR et al. Increased risk of death among children with Lennox-Gastaut syndrome and infantile spasms. *J Child Neurol* 2010; 25: 441–7.
6. van Dam VS; Korff CM Dravet syndrome: an update. *Schweiz Arch Neurol Psychiatr* 2013; 164: 153–7.
7. Wirrell EC et al. Optimizing the diagnosis and management of Dravet syndrome: recommendations from a North American consensus panel. *Pediatr Neurol* 2017; 68: 18–34.
8. Marchese F et al. Comorbidities in Dravet syndrome and Lennox-Gastaut syndrome. *SN Compr Clin Med* 2021; 3: 2167–79.
9. Skluzacek JV et al. Dravet syndrome and parent associations: the IDEA League experience with comorbid conditions, mortality, management, adaptation, and grief. *Epilepsia* 2011; 52 (Suppl 2): 95–101.
10. Campbell JD et al. Assessing the impact of caring for a child with Dravet syndrome: results of a caregiver survey. *Epilepsy Behav* 2018; 80: 152–6.
11. Gallop K et al. Impact of Lennox-Gastaut syndrome (LGS) on health-related quality of life (HRQL) of patients and caregivers: literature review. *Seizure* 2009; 18: 554–8.
12. Gibson PA Lennox-Gastaut syndrome: impact on the caregivers and families of patients. *J Multidiscip Healthc* 2014; 7: 441–8.
13. Villas N et al. Dravet syndrome: characteristics, comorbidities, and caregiver concerns. *Epilepsy Behav* 2017; 74: 81–6.
14. Strzelczyk A, Schubert-Bast S. A practical guide to the treatment of Dravet syndrome with anti-seizure medication. *CNS Drugs* 2022; 36: 217–37.

Quelle: Presseaussendung von Jazz Pharmaceuticals vom 15. Februar 2024

Weitere Informationen:

Jazz Pharmaceuticals Austria GmbH
 Dr. Maria Heinrich
 A-1100 Wien,
 Gertrude-Fröhlich-Sandner-Straße 2–4
 Tel.: 0664/1372 758
 E-Mail: maria.heinrich@jazzpharma.com

Fachkurzinformation zu obigem Text

Bezeichnung des Arzneimittels: Epidyolex 100 mg/ml Lösung zum Einnehmen. Qualitative und quantitative Zusammensetzung: Jeder ml der Lösung zum Einnehmen enthält 100 mg Cannabidiol. Sonstiger Bestandteil mit bekannter Wirkung: Jeder ml Lösung enthält: 79 mg Ethanol, 736 mg raffiniertes Sesamöl, 0,0003 mg Benzylalkohol. Liste der sonstigen Bestandteile: Raffiniertes Sesamöl, Ethanol, Sucralose (E955), Erdbeer-Aroma (enthält Benzylalkohol). **Anwendungsgebiete:** Epidyolex wird als Zusatztherapie von Krampfanfällen im Zusammenhang mit dem Lennox-Gastaut-Syndrom (LGS) oder dem Dravet-Syndrom (DS) in Verbindung mit Clobazam bei Patienten ab 2 Jahren angewendet. Epidyolex wird als Zusatztherapie von Krampfanfällen im Zusammenhang mit Tuberöser Sklerose (TSC) bei Patienten ab 2 Jahren angewendet. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff oder einen der sonstigen Bestandteile. Patienten mit erhöhten Transaminasewerten, die das Dreifache der oberen Normgrenze (ULN) übersteigen, und deren Bilirubinwerte das Zweifache der ULN übersteigen. **Pharmakotherapeutische Gruppe:** Antiepileptika, andere Antiepileptika, ATC-Code: N03AX24. **Inhaber der Zulassung:** Jazz Pharmaceuticals Ireland Ltd, 5th Floor, Waterloo Exchange, Waterloo Road, Dublin 4, D04 E5W7, Irland. **Rezeptpflicht/ Apothekenpflicht:** Rezept- und apothekenpflichtig, wiederholte Abgabe verboten. **Weitere Informationen zu den Abschnitten Warnhinweise und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung, Wechselwirkungen mit anderen Arzneimitteln und sonstige Wechselwirkungen, Nebenwirkungen und Gewöhnungseffekte sowie zu Fertilität, Schwangerschaft und Stillzeit entnehmen Sie bitte der veröffentlichten Fachinformation.**

Darreichungsform: Eine 100-ml-Flasche; jeder ml der Lösung zum Einnehmen enthält 100 mg Cannabidiol. Die Flasche ist in einem Karton mit zwei 5-ml- und zwei 1-ml- Applikations-spritzen für Zubereitungen zum Einnehmen und zwei Flaschenadaptoren verpackt. Die 5-ml-Spritzen sind in Schritten von 0,1 ml und die 1-ml-Spritzen in Schritten von 0,05 ml unterteilt. Für mehr Information kontaktieren Sie bitte: medinfo-int@jazzpharma.com
 AT-EPX-2300018 V2.0

Mitteilungen aus der Redaktion

Besuchen Sie unsere zeitschriftenübergreifende Datenbank

[Bilddatenbank](#)

[Artikeldatenbank](#)

[Fallberichte](#)

e-Journal-Abo

Beziehen Sie die elektronischen Ausgaben dieser Zeitschrift hier.

Die Lieferung umfasst 4–5 Ausgaben pro Jahr zzgl. allfälliger Sonderhefte.

Unsere e-Journale stehen als PDF-Datei zur Verfügung und sind auf den meisten der marktüblichen e-Book-Readern, Tablets sowie auf iPad funktionsfähig.

[Bestellung e-Journal-Abo](#)

Haftungsausschluss

Die in unseren Webseiten publizierten Informationen richten sich **ausschließlich an geprüfte und autorisierte medizinische Berufsgruppen** und entbinden nicht von der ärztlichen Sorgfaltspflicht sowie von einer ausführlichen Patientenaufklärung über therapeutische Optionen und deren Wirkungen bzw. Nebenwirkungen. Die entsprechenden Angaben werden von den Autoren mit der größten Sorgfalt recherchiert und zusammengestellt. Die angegebenen Dosierungen sind im Einzelfall anhand der Fachinformationen zu überprüfen. Weder die Autoren, noch die tragenden Gesellschaften noch der Verlag übernehmen irgendwelche Haftungsansprüche.

Bitte beachten Sie auch diese Seiten:

[Impressum](#)

[Disclaimers & Copyright](#)

[Datenschutzerklärung](#)