



Pädiatrische Kardiologie / Herzambulanz

Univ. Prof. Dr. Ina Michel-Behnke

E-Mail: paed-kardiologie@meduniwien.ac.at

<http://www.meduniwien.ac.at/hp/kinderherzzentrum/>

Telefon: 0043 1 40400-31990

Fax: 0043 1 40400-38150

Effektivität und Verträglichkeit von Macitentan zur Behandlung der pulmonalen Hypertension/pulmonalhypertensiven Vaskulopathie im Kindesalter

Der neue Endothelinrezeptorantagonist Macitentan weist im Vergleich zu seinem Vorgänger Bosentan deutlich bessere pharmakodynamische Eigenschaften auf. Seit 2014 ist Macitentan für die Therapie der PAH bei Erwachsenen zugelassen. Daten zur Verwendung dieser Substanz im Kindesalter liegen bisher nicht vor. Das Ziel unseres Projekts war es, die Anwendung von Macitentan (Opsumit®) bei Kindern mit PH / pulmonalvaskulären Erkrankungen zu überprüfen.

Seit Jänner 2016 wurden bisher knapp 20 Patienten unserer Abteilung mit Opsumit® behandelt. Das Alter lag zwischen 0,8 und 23 Jahren. Die unterschiedlichen Diagnosen der Patienten wurden entsprechend der *PANAMA Klassifikation 2011* eingeteilt. Bei der Hälfte der Patienten lag eine PAH im Rahmen einer Herzerkrankung vor. 3 Patienten hatten eine idiopathische PAH und weitere 3 eine Lungenerkrankung mit Lungenhypoplasie. Bei 50% der Patienten bestand ein schwere PAH mit systemischen Druckverhältnissen im kleinen Kreislauf. Dementsprechend hatten die meisten eine Kombinationstherapie mit einem Phosphodiesterasehemmer. 6 Patienten erhielten sogar eine 3fach Kombination inklusive Prostazyklintherapie. Opsumit wurde bei 8 Patienten de novo eingestellt, bei den übrigen erfolgte eine Umstellung von Bosentan auf Macitentan. Die Dosierungen wurden entsprechend des Körpergewichts auf Basis von Konzentrationsmessungen ermittelt.

Alle Patienten erhielten zum Zeitpunkt der Einstellung/Umstellung ein engmaschiges Monitoring nach Protokoll. Bei keinem der Patienten kam es zu einem relevanten Blutdruckabfall oder anderen hämodynamischen Nebenwirkungen. Die regelmäßigen Bestimmungen der Leberfunktionsparameter ergaben keinerlei Auslenkungen. Subjektiv wurde das Medikament von allen Patienten gut toleriert.

Unsere Untersuchungsergebnisse zeigen, dass die Anwendung von Macitentan bei Kindern gut toleriert wird und sicher ist. Dank dieses Projekts konnten wir österreichweit die größten Erfahrungen zur Anwendung dieses wichtigen Medikaments in der Therapie der kindlichen PAH sammeln.

Der zweite Teil des Projekts wird sich mit der Effektivität und den mittelfristigen hämodynamischen Auswirkungen von Macitentan bei unseren Patienten befassen.

Univ. Prof. I. Michel - Behnke

Dr. S. Albinni