



Studie zeigt deutliche Wirksamkeit von Wirkstoff bei erwachsenen Patient:innen mit Spinaler Muskelatrophie

Behandlung mit Risdiplam führt zu signifikanter Verbesserung der motorischen Funktionen

(Wien, 29-09-2025) Ein österreichweites Forschungsteam unter Koordination der MedUni Wien hat erstmals in einer großen Beobachtungsstudie nachgewiesen, dass der Wirkstoff Risdiplam bei erwachsenen PatientInnen mit 5q-assoziiierter Spinaler Muskelatrophie (SMA) zu einer signifikanten Verbesserung der motorischen Funktionen führt. Die Ergebnisse schließen eine wichtige Evidenzlücke, da frühere Zulassungsstudien hauptsächlich Kinder untersucht hatten.

In die Studie wurden 57 Erwachsene mit genetisch gesicherter SMA einbezogen, die zuvor noch keine krankheitsmodifizierende Therapie erhalten hatten. Über einen Zeitraum von bis zu 24 Monaten wurden motorische Fähigkeiten regelmäßig mit etablierten klinischen Skalen überprüft. Bereits nach wenigen Monaten zeigten sich messbare Verbesserungen, die auch nach 18 Monaten und länger anhielten.

„Dass wir nicht nur eine Stabilisierung, sondern sogar eine klinisch bedeutsame Verbesserung bei Patient:innen mit SMA beobachten konnten, ist ein bemerkenswerter Befund“, sagt Hakan Cetin von der Universitätsklinik für Neurologie der MedUni Wien und Letztautor der Studie. „Gerade bei einer Erkrankung wie der SMA, bei der Patient:innen im natürlichen Verlauf kontinuierlich Fähigkeiten verlieren, ist dieser Effekt von besonderer Bedeutung.“

Auch Omar Keritam von der Universitätsklinik für Neurologie, Erstautor der Studie, betont die Tragweite der Ergebnisse: „Bisher gab es keine belastbaren Daten zur Wirksamkeit von Risdiplam bei Erwachsenen. Unsere Arbeit zeigt erstmals auf Basis von real-world Daten, dass Patient:Innen nicht nur stabil bleiben, sondern tatsächlich funktionell besser werden können. Damit eröffnet sich für viele Betroffene eine völlig neue therapeutische Perspektive.“

Die Spinale Muskelatrophie ist eine seltene genetisch bedingte Erkrankung, die durch fortschreitenden Verlust von Nervenzellen im Rückenmark und daraus folgendem Muskelschwund gekennzeichnet ist. Risdiplam ist seit 2021 in Europa für Patient:innen aller Altersgruppen zugelassen.



Die nun publizierte Studie ist die erste multizentrische Beobachtungsstudie dieser Größenordnung bei Erwachsenen weltweit und wurde an acht neuromuskulären Zentren in Österreich durchgeführt. Sie liefert einen entscheidenden Beitrag zur Evidenzbasis für die Behandlung Erwachsener mit SMA.

Publikation: eClinicalMedicine

Efficacy and safety of risdiplam in adults with 5q-1 associated spinal muscular atrophy: a nationwide observational cohort study in Austria

Omar Keritam, Marcus Erdler, Bernhard Fasching, Gudrun Zulehner, Jakob Rath, Martin Krenn, Thomas Waldhör, Victoria Anna Gruber, Nadine Langweil, Christian Kiss, Theresa Antonia Griedl, Valeriu Gold, Julia Wanschitz, Anna Hotter, Vera EA Kleinveld, Corinne GC Horlings, Astrid Erber, Eva Schernhammer, Johannes Troger, Susanne Grinzinger, Petra Müller, Dieter Langenscheidt, Mika Rappold, Anna Wiesenhofer, Magdalena Gosk-Tomek, Florian Knipp, Simone Mahal, Günther Bernert, Matthias Baumann, Fritz Zimprich, Raffi Topakian, Christian Eggers, Stefan Quasthoff, Wolfgang Löscher, Hakan Cetin,

DOI: 10.1016/j.eclinm.2025.103536

Rückfragen bitte an:

Mag. Johannes Angerer

Leiter Kommunikation und Öffentlichkeitsarbeit

Tel.: +43 (0)664 80016-11501

E-Mail: presse@meduniwien.ac.at

Spitalgasse 23, 1090 Wien

www.meduniwien.ac.at/pr

Mag.^a Karin Kirschbichler

Kommunikation und Öffentlichkeitsarbeit

Tel.: +43 (0)664 80016-11505

E-Mail: presse@meduniwien.ac.at

Spitalgasse 23, 1090 Wien

www.meduniwien.ac.at/pr

Medizinische Universität Wien – Kurzprofil

Die Medizinische Universität Wien (kurz: MedUni Wien) ist eine der traditionsreichsten medizinischen Ausbildungs- und Forschungsstätten Europas. Mit rund 8.600 Studierenden ist sie heute die größte medizinische Ausbildungsstätte im deutschsprachigen Raum. Mit mehr als 6.500 Mitarbeiter:innen, 30 Universitätskliniken und zwei klinischen Instituten, zwölf medizinteoretischen Zentren und zahlreichen hochspezialisierten Laboratorien zählt sie zu den bedeutendsten Spitzenforschungsinstitutionen Europas im biomedizinischen Bereich. Die MedUni Wien besitzt mit dem Josephinum auch ein medizinhistorisches Museum.