

## **Bericht der Arbeitsgruppe Kalzium-Phosphat-Knochenstoffwechsel 2022**

### **16. JA-PED, Lübeck 2022**

Moderation: O. Semler, Ch. Land

Die Arbeitsgemeinschaft Kalzium, Phosphat- und Knochenstoffwechsel hat sich am Samstag zum jährlichen Arbeitsgruppentreffen getroffen. Es ging im ersten Teil um die multizentrische Betreuung und die verschiedenen Therapieoptionen bei Achondroplasie.

Es steht mit Vosorotid (Voxogo®) erstmals ein Medikament zur Verfügung, welches das Wachstum bei dieser seltenen Skelettdysplasie beeinflusst. Prof. Mohnike hat von den Erfahrungen in Magdeburg und den Gesprächen mit der Selbsthilfegruppe berichtet, Dr. Rehberg zeigte Kölner Daten zum Ansprechen auf die wachstumsstimulierende Therapie. Die Erfahrung in Deutschland und aus den Zulassungsstudien sind noch begrenzt, insgesamt zeigt sich eine leichte Beschleunigung des Wachstums. Es gab intensive Gespräche über die Definition eines positiven Ansprechens. „Real-Life Daten“ und Daten zur Beeinflussung von Komorbiditäten (Proportionen, Foramen magnum Enge, Muskelfunktion) fehlen noch.

Die Arbeitsgemeinschaft hat sich vorgenommen bis zur nächsten Sitzung gemeinsame Daten auszuwerten und nach Möglichkeit Response-Kriterien zu definieren. Dr. Schnabel zeigte Daten aus dem Register für Phosphatdiabetes, welche sich mit dem Ansprechen auf eine Therapie mit Burosumab (Crysvita) beschäftigen. Die Publikation dieser Daten ist im ersten Halbjahr 2023 geplant. Mit Burosumab steht inzwischen eine sichere und effektive Therapieoption für den Phosphatdiabetes zur Verfügung, sowohl im Kindes- und Jugendalter als auch inzwischen im Erwachsenenalter. Insgesamt war die Sitzung gut besucht, es wurde intensiv über die für die Patient\*innen relevanten Outcomes und die Relation zu den hohen Kosten bei den neuen Therapien diskutiert.