Schwere aplastische Anämie

Thrombopoetin-Rezeptoragonist weckt neue Hoffnung

— Die aplastische Anämie (AA) beruht auf einer zu etwa 80% autoimmun bedingten, defizienten Produktion von Knochenmarkszellen und nachfolgend von Granulozyten, Thrombozyten und Retikulozyten, erklärte Prof. Tim Brümmendorf, Aachen. Patienten ohne geeigneten Knochenmarkspender sind bislang auf eine immunsuppressive Therapie mit Antithymozytenglobulinen und Ciclosporin A (ATG/CsA) angewiesen.

Die Erkrankung führt im Alltag auch zu massiven psychosozialen Einschränkungen, betonte die Transfusionsmedizinerin Dr. Britta Höchsmann, Ulm. Die Vielgestaltigkeit der Krankheitsverläufe sorge für quälende Ungewissheit bezüglich der Diagnose und der Prognose. Zugleich beschneide die ständige Gefahr lebensbedrohlicher

Infekte und die anämiebedingte Müdigkeit soziale Aktivitäten der Patienten enorm.

Etwa ein Viertel der Patienten, die ungeeignet für eine Knochenmarkstransplantation sind, sprechen nach Aussage des Hämatologen Prof. Hubert Schrezenmeier, Ulm, nicht auf die Standard-Immunsuppression mit ATG/CsA an, obwohl die Spiegel endogener hämatopoetischer Wachstumsfaktoren bei AA-Patienten deutlich höher als bei Gesunden sind.

Stimulieren lässt sich der Thrombopoetin-Rezeptor jedoch durch Eltrombopag (Revolade®), einen niedermolekularen, hochspezifischen Rezeptoragonisten, der additiv und nicht-kompetitiv zu nativem Thrombopoetin wirkt. Eltrombopag stimuliert bei etwa 40% der Patienten mit refraktärer AA sowohl die

Vermehrung als auch die Differenzierung hämatopoetischer Stammzellen zu Blutplättchen, Erythrozyten und Neutrophilen, zitierte Schrezenmeier eine zulassungsrelevante offene Phase-II-Studie. Unter einer initialen Dosierung von 50 mg Eltrombopag pro Tag, mit der Möglichkeit der schrittweisen Dosis- eskalation bis zu einer Maximaldosis von 150 mg, sprachen die zuvor unter Immunsuppression refraktären Patienten im Median nach 12 Wochen an, wobei ein maximaler Effekt nach 18–24 Wochen erzielt wurde. Auch sechs Monate nach Absetzen der Therapie blieb der Behandlungserfolg bei den Respondern stabil und rezidivfrei.

Dr. Andreas Häckel

▪ Zulassungspressekonferenz „Revolade® (Eltrombopag): Eine neue Behandlungsoption für Schwere Aplastische Anämie“, Frankfurt am Main, September 2015 (Veranstalter Novartis Oncology)

Nicht-röntgenologische axiale Spondyloarthritis

Neuer TNF-alpha-Blocker mildert Krankheitszeichen

— Die nicht-röntgenologische axiale Spondyloarthritis (nr-axSpA) ist eine Frühform der axialen Spondyloarthritis (SpA). Sie ist durch ein erhöhtes C-reaktives Protein (CRP) und/oder durch in der Magnetresonanztomografie (MRT) nachgewiesene Entzündungszeichen (Knochenmarködem) vorwiegend an den Sakroiliakgelenken und der Wirbelsäule gekennzeichnet. Die Krankheitslast sei bei nr-axSpA und ankylosierender Spondylitis vergleichbar, wie Prof. Joachim Sieper, Leiter der Abteilung für Rheumatologie am Klinikum Benjamin Franklin der Freien Universität Berlin, berichtete.

EU-Zulassung seit Juni 2015

Für die Therapie der Erkrankung ist jetzt Golimumab (Simponi®) verfügbar. Der TNF-alpha-Blocker – in der Rheumatologie bereits bei ankylosierender Spondylitis, Psoriasis-Arthritis und rheuma-

toider Arthritis zugelassen – hatte in der Studie GO-AHEAD [Sieper J et al. Arthritis Rheumatol 2015, doi: 10.1002/art.39257] seine Effektivität und Sicherheit bei Patienten mit aktiver nr-axSpA nachgewiesen. Auf Basis dieser positiven Daten erhielt der Antikörper im Juni 2015 die EU-Zulassung.

In der Zulassungsstudie erreichten unter Golimumab (50 mg alle vier Wochen subkutan injiziert) 71,1% der Patienten eine mindestens 20%ige Verbesserung vs. 40% unter Placebo. „Noch größer war der Unterschied bei Patienten mit Entzündungszeichen im MRT oder erhöhtem CRP-Wert zu Baseline“, so Sieper. Hier war das Verhältnis 76,9% versus 37,5%.

Michael Koczorek

▪ Launch-Pressekonferenz „Simponi® – die neue Therapieoption für nicht-röntgenologische axiale Spondyloarthritis (nr-axSpA)“, 43. Kongress der Deutschen Gesellschaft für Rheumatologie, Bremen, September 2015 (Veranstalter: MSD)

Früh behandelt lässt sich die Entzündung bei der nicht-röntgenologischen axialen Spondyloarthritis zurückdrängen.