Morbus Gaucher: Früh mit Enzyersatztherapie beginnen

Für Patienten mit Morbus Gaucher ist eine frühe Diagnose wichtig. Denn damit kann eine kausale Therapie eingeleitet werden, ehe ausgeprägte Organschädigungen aufgetreten sind. Die Enzyersatztherapie mit Velaglucerase alfa (Vpriv®) kann dazu beitragen, schwere und irreversible Komplikationen wie Leberfibrose, -zirrhose und Leberzellkarzinom, eine interstitielle Lungenerkrankung, Knochennekrosen, Osteoporose und Frakturen zu verhindern. In einer Post-hoc-Analyse einer Phase-III-Studie erreichte ein Großteil der bis dahin therapie-naiven Patienten unter Velaglucerase alfa über einen Zeitraum von vier Jahren die Therapieziele bei Hämoglobin- und Thrombozytenwerten, Milz- und Lebervolumina sowie Knochendichte [Elstein D et al. Mol Genet Metab. 2016;117(2):S14-S24]. Die Enzyersatztherapie zeigte auch bei zuvor stabil auf Imiglucerase eingestellten Patienten unter Beibehaltung der Dosis und Anwendungshäufigkeit eine anhaltend gute Wirksamkeit. *red.*

Nach Information von Shire

USA: Erster Checkpointinhibitor bei Blasenkrebs zugelassen

Als erster Vertreter einer neuen Generation von Checkpointinhibitoren blockiert Atezolizumab (Tecentriq®) die Interaktion von PD-L1 sowohl mit PD-1 als auch mit B7-1. Die FDA hat den Wirkstoff nun zur Behandlung von Patienten mit lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem Blasenkrebs, deren Erkrankung während oder innerhalb von zwölf Monaten nach einer platinbasierten Chemotherapie fortgeschritten war, zugelassen. Grundlage hierfür waren die Ergebnisse der offenen Phase-II-Studie IMvigor 210. Unter der Monotherapie mit Atezolizumab erreichten 15 % der zum Teil massiv vorbehandelten Patienten ein objektives Ansprechen. Zum Zeitpunkt der Datenauswertung (medianes Follow up 11,7 Monate) hielt dieser Effekt bei 84 % der Patienten an. Bei Patienten mit einer PD-L1-Expression in tumorinfiltrierenden Immunzellen von $\geq 5\%$ lag die objektive Ansprechrates sogar bei 26 %. Die Behandlung erwies sich als sicher und gut verträglich: Unerwünschte Ereignisse vom Grad 3/4 traten bei 16 % der Patienten auf. *red.*

Nach Informationen von Roche

Tyrosinkinaseinhibitor bei CML: Jeder zweite Patient hat Chance auf therapiefreie Remission

— Bei Patienten mit chronischer myeloischer Leukämie (CML) ist bereits nach einer relativ kurzen Behandlung mit dem Tyrosinkinaseinhibitor Nilotinib (Tasigna®) eine über 48 Wochen anhaltende therapiefreie Remission erreichbar. Das zeigten die Studien ENESTfreedom und ENESTop. In diesen Studien wurde untersucht, ob Patienten mit CML in der chronischen Phase mit tiefem molekularem Ansprechen unter Nilotinib die Medikation absetzen können, ohne dass es zu einem molekularen Rezidiv der Erkrankung kommt (therapiefreie Remission). Dies gilt für Patienten mit Nilotinib als Erstlinientherapie und für Patienten, die nach Imatinib auf Nilotinib gewechselt hatten. In der ENESTfreedom-Studie konnten 51,6 % der CML-Patienten mit Nilotinib als Erstlinientherapie eine behandlungsfreie Remission, definiert als anhaltendes molekulares Ansprechen (MMR), über 48 Wochen aufrechterhalten [Hochhaus A et al. ASCO.

2016;Abstr 7001]. Die Therapie mit Nilotinib war zuvor im Median über 3,6 Jahre erfolgt. Bei 86 Patienten kam es im Studienverlauf zu einem Verlust der MMR. Sie erhielten daraufhin erneut Nilotinib. 85 (98,8 %) von ihnen erreichten bisher unter der erneuten Behandlung eine MMR, 76 (88,4 %) ein molekulares Ansprechen (MR).

In der ENESTop-Studie wurde die behandlungsfreie Remission bei Patienten untersucht, die unter einer mindestens dreijährigen Therapie mit Nilotinib ein dauerhaftes tiefes Ansprechen (MR^{4.5}) erreichen konnten. Die Patienten hatten unter der Erstlinientherapie mit Imatinib kein tiefes Ansprechen erreicht. 57,9 % der Patienten, die von Imatinib auf Nilotinib gewechselt hatten, waren 48 Wochen nach Absetzen der Behandlung therapiefrei [Hughes HP et al. ASCO. 2016;Abstr 7054]. *red.*

Nach Informationen von Novartis Pharma

NSCLC: Patienten profitieren von nab-Paclitaxel auch in der Erhaltungstherapie

— Zwei Analysen der noch laufenden Phase-III-Studie ABOUND.sqm zeigen, dass Patienten mit fortgeschrittenem nichtkleinzelligem Lungenkarzinom (NSCLC), die nach vier Zyklen nab-Paclitaxel (Abraxane®) plus Carboplatin weiterhin mit nab-Paclitaxel als Erhaltungstherapie behandelt werden, von einer verbesserten Lebensqualität profitieren.

Die albuminbasierte Nanotechnologieformulierung führt in der Erstlinientherapie des NSCLC zu hohen Ansprechraten mit besserer Verträglichkeit im Vergleich zu konventionellem Paclitaxel, so die Ergebnisse der Zulassungsstudie.

Die neuen Analysen zur Erhaltungstherapie basieren auf den Daten von 159 Patienten. In der ersten Analyse wurde den Einfluss der Chemotherapie auf die Symptome und die Aktivitäten des Patienten untersucht. Das Ergebnis: Die Lebensqualität blieb über die gesamte Behandlungsdauer hinweg im Allgemeinen erhalten oder sie verbesserte sich [Langer CJ et al. ASCO. 2016;Abstr 63].

Fokus der zweiten Analyse war der Einfluss des radiologischen Ansprechens auf die Lebensqualität. Bei 58 % der Patienten wurde ein radiologisches Ansprechen dokumentiert. Die Lebensqualität war bei Patienten mit und ohne radiologischem Ansprechen stabil oder sogar verbessert. Dabei zeigten Patienten mit radiologischem Ansprechen eine deutlichere Verbesserung der krankheitsbedingten Symptomatik [Lilenbaum R et al. ASCO. 2016;Abstr 64]. 38–47 % aller Patienten, die vor der Behandlung über Probleme mit der Mobilität, Selbstversorgung, alltäglichen Aktivitäten, Schmerz/Unwohlsein und/oder Unruhe/Depression klagten, gaben mindestens einmal die vollständige Auflösung des Problems bei der EuroQoL-Analyse zu Protokoll. Auch bei dieser Analyse berichteten Patienten mit radiologischem Ansprechen häufiger von einer positiven Symptomentwicklung. *red.*

Nach Informationen von Celgene