

Neue Option bei Sichelzellerkrankung

Voxelotor erhöht Hämoglobin signifikant

Seit Februar dieses Jahres ist Voxelotor in Europa zur Behandlung einer hämolytischen Anämie infolge einer Sichelzellerkrankung zugelassen. Basis dafür bilden die Daten der HOPE-Studie, in der die Therapie zu einer signifikanten Erhöhung des Hämoglobins und einer Verringerung der Hämolyse führte.

Die Sichelzellerkrankung wird durch eine einzige Aminosäuresubstitution in der β -Globin-Untereinheit des Hämoglobins verursacht, die die Bildung von starrem, klebrigem Sichelzellerhämoglobin zur Folge hat. Hier setzt der Polymerisationsinhibitor Voxelotor (Oxbryta®) an: Er verhindert zum einen die Polymerisation von Sichelzellerhämoglobin und erhöht zum anderen die Affinität des Hämoglobins, an Sauerstoff zu binden. Wie Dr. Ferras Alashkar, Oberarzt an der Klinik für Hämatologie und Stammzelltransplantation am Universitätsklinikum Essen, berichtete, leben in Deutschland etwa 3.200 Menschen mit Sichelzellerkrankung.

Signifikanter Hämoglobin-Anstieg

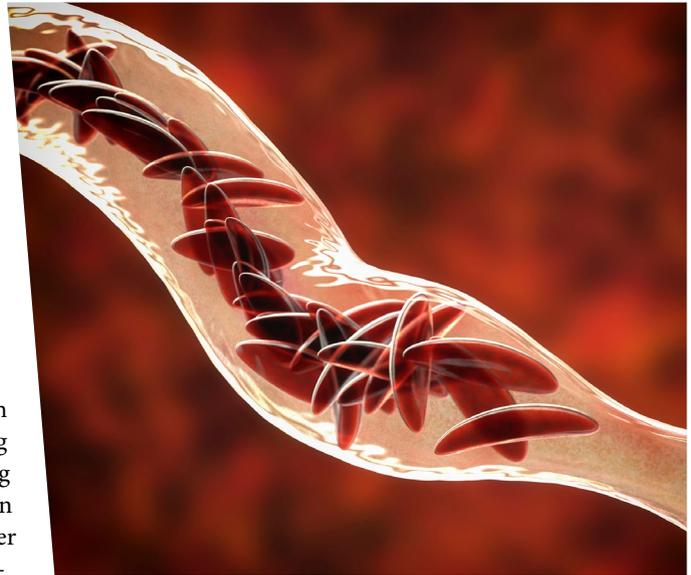
Die Zulassung basierte auf den Ergebnissen der HOPE-Studie, an der 274 Patientinnen und Patienten mit Sichelzellerkrankung teilnahmen [1]. Über 24 Wochen erhielten die Teilnehmer randomi-

siert einmal täglich entweder 1.500 mg Voxelotor, 900 mg Voxelotor oder ein Placebo. Primärer Wirksamkeitsend-

punkt war die Hämoglobin-Ansprechrage, d.h. der Prozentsatz der Teilnehmer mit einem Hämoglobin-Anstieg von $> 1,0$ g/dl zu Studienende.

Probanden, die die Prüfsubstanz erhielten, zeigten zu einem größeren Anteil einen signifikanten Hämoglobin-Anstieg, verglichen mit Probanden, die Placebo erhielten: Unter 1.500 mg/d Voxelotor erzielten 51% der Teilnehmer nach 24 Wochen einen Hämoglobin-Anstieg von $> 1,0$ g/dl – unter Placebo erreichten dies nur 7% ($p < 0,001$). Zudem reduzierten sich bestimmte Hämolyse-Parameter wie indirektes Bilirubin und der Anteil an Retikulozyten unter der Prüfsubstanz. Die Inzidenz von unerwünschten Ereignissen, die nicht durch die Erkrankung selbst bedingt waren, ähnelte sich in den drei Studiengruppen. Eine offene Folgestudie sowie Real-World-Daten bestätigen laut Alashkar die Ergebnisse der Zulassungsstudie.

Voxelotor wurde von der Europäischen Arzneimittel-Agentur für Patientinnen und Patienten ab dem Alter von zwölf



Jahren mit einer hämolytischen Anämie infolge einer Sichelzellerkrankung als Monotherapie oder in Kombination mit Hydroxycarbamid zugelassen.

Dr. rer. nat. Miriam Sonnet

Quellen: [1] Vichinsky E et al. N Engl J Med. 2019;8;381:509–19; Pressekonferenz anlässlich der Markteinführung von Oxbryta® (Voxelotor), 31. Mai 2022 (Veranstalter: Global Blood Therapeutics)

Kurz notiert

Ernährung bei Schilddrüsenerkrankungen – was gilt es zu beachten?

Eine neue Broschüre des Pharmaunternehmens Sanofi gibt Antworten auf häufige Fragen zum Thema „Schilddrüse und Ernährung“. Zudem werden Informationen zur Anwendung von Nahrungsergänzungsmitteln vermittelt und Hinweise gegeben, was während der Schwangerschaft beachtet werden sollte. Die Broschüre ist erhältlich unter: www.forum-schilddruese.de/bestellcenter.

red

Quelle: Nach Informationen von Sanofi