

## Optimierung der Therapie von Hämophilie auch in der „echten Welt“

— Mit den beiden langwirksamen Faktorenpräparaten rVIII-SingleChain (Afsyla®) und rIX-FP (Idelvion®) wurde die Substitution bei der Hämophilie optimiert. Neue Real-World-Daten bestätigen dies.

In einem intraindividuellen Studienansatz wurde bei 40 Patienten mit Hämophilie A die Injektionsfrequenz, der FVIII-Verbrauch und die Blutungsraten vor und nach der Umstellung auf rVIII-SingleChain verglichen. Durch die Umstellung erhöhte sich der Anteil der blutungsfreien Patienten von 76% auf 95%. Dies ging mit einem signifikant geringeren Durchschnittsverbrauch einher. Die meisten Patienten, die mit einem Standard-FVIII-Präparat behandelt wurden, mussten mehr als zweimal wöchentlich spritzen. Nach der Umstellung auf rVIII-SingleChain konnten drei Viertel der Patienten auf ein längeres Injektionsintervall eingestellt werden und müssen sich überwiegend nur noch zweimal pro Woche spritzen – und dies bei vergleichbaren oder tendenziell niedrigeren Blutungsraten [Olivieri M et al. Eur J Haematol 2020;104:310-7]. „Das erhöht die Compliance“, so Dr. Georg Goldmann, Facharzt für Transfusionsmedizin und Hämostaseologie an der Universitätsklinik Bonn, auf einem Pressegespräch von CSL Behring. Diese Ergebnisse werden gestützt durch US-amerikanische Real-World-Daten. „Alle vorliegen-

den retrospektiven Daten bestätigen die in klinischen Studien gezeigte exzellente prophylaktische Wirksamkeit von rVIII-SingleChain und zeigen, dass eine Umstellung auf dieses Präparat zur Optimierung der Therapie beiträgt.“

Mit rIX-FP steht ein Faktor-IX-Präparat zur Verfügung, das – nur einmal wöchentlich injiziert – einen Tagesspiegel von über 20% ermöglicht. Auch für dieses Präparat gibt es aktuelle Real-World-Daten. Eine Auswertung von 81 Patienten mit Hämophilie B ergab eine im Vergleich zu vorangegangenen Therapien deutlich niedrigere Blutungsrate

und einen geringeren Faktorenverbrauch bei seltenerer Anwendung. So sank die annualisierte Blutungsrate von 2,6 vor Umstellung auf 0,3 nach Umstellung und der Anteil blutungsfreier Patienten stieg von 24% auf 81% [Oldenburg J et al. Curr Med Res Opin 2020;36:9-15]. „Vor dem Wechsel mussten fast alle Patienten mehrmals pro Woche spritzen, danach waren 90% auf ein einmal wöchentliches oder sogar noch selteneres Injektionsschema eingestellt“, so Dr. Carmen Escuriola-Ettingshausen, Ärztin in Mörfelden-Walldorf. *Dr. Peter Stiefelhagen*

Virtuelles Pressegespräch „5 Jahre IDELVION® und AFSTYLA®: Optimierung der Therapie erreicht? Real-World-Evidenz untermauert klinische Datenlage“, 22.7.2021; Veranstalter: CSL Behring



© vjajic / Getty Images / iStock

**Zwei langwirksame Faktorenpräparate ermöglichen ein verlängertes Injektionsintervall bei Hämophilie bei gleichzeitig geringeren Blutungsraten.**

## Altersgerechte motorische Entwicklung ist bei SMA kein unerreichbares Ziel mehr

— Erstmals liegen für den oralen Spleißmodifikator Risdiplam (Evrysdi®) klinische Wirksamkeitsdaten aus der Interimsanalyse der offenen Phase-II-Studie RAINBOWFISH vor. Darin werden Neugeborene im Alter von 0–6 Wochen nach präsymptomatischer Diagnose einer 5q-assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) mit Risdiplam behandelt. Die neuen Ergebnisse beziehen sich auf fünf Säuglinge, die über ein Jahr therapiert wurden.

Alle zeigten eine altersgerechte motorische Entwicklung. Die Kinder waren zum Datenschnitt in der Lage, ohne Unterstützung zu sitzen, sich zu drehen und zu krabbeln. Vier

von ihnen konnten darüber hinaus eigenständig stehen und gehen. Bei den fünf Kindern traten als unerwünschte Ereignisse (UE) am häufigsten eine verstopfte Nase (33%), Husten (25%), Zahnen (25%) und Erbrechen (25%) auf. Zu je 17% wurden Ekzeme, Abdominalschmerzen, Diarrhö, Gastroenteritis, Ausschlag sowie Fieber registriert. Keine dieser UE hatte zur Folge, dass die Teilnehmer aus der Studie ausgeschieden oder diese abgebrochen werden musste.

Auch zur globalen Phase-II-Studie JEWELFISH liegen neue Daten vor. Die Interimsanalyse deutet an, dass die einjährige Be-

handlung mit Risdiplam die motorischen Fähigkeiten von vorbehandelten SMA-Patienten aufrecht erhält. Verglichen mit dem Proteinspiegel von Survival of Motoneuron (SMN) zu Therapiebeginn zeigte sich unter Risdiplam zudem eine mehr als zweifache Erhöhung der SMN-Konzentration, die über den gesamten Beobachtungszeitraum bestehen blieb.

Von den Studienteilnehmern waren 76% mit Nusinersen und 14% mit Onasemnogen abeparvovec vorbehandelt worden. Das Sicherheitsprofil in der aktuellen Datenauswertung von JEWELFISH ähnelte demjenigen aus den Studien FIREFISH und SUNFISH mit nicht vorbehandelten SMA-Patienten.

*red*

Nach Informationen von Roche