

## mCRPC: Metastasentherapie mit Überlebensvorteil

— Radium-223 (Xofigo®) führt nach Meinung von Frank König, Berlin, zu Unrecht ein Nischendasein in der Behandlung des metastasierten, kastrationsresistenten Prostatakarzinoms (mCRPC) mit Knochenmetastasen ohne bekannte Viszeralmetastasen. Das Strahlentherapeutikum wird wie Kalzium in den Knochen eingebaut und ist dort als Alphastrahler mit sehr kurzer Eindringtiefe lokal gegen Knochenmetastasen wirksam.

In der zulassungsrelevanten Studie ALSYMPCA führte Radium-223 im Vergleich

zu Placebo nicht nur zu einer signifikanten Verlängerung der Zeit bis zum nächsten skelettbezogenen Ereignis (15,6 vs. 9,8 Monate;  $p = 0,001$ ), sondern auch zu einer signifikanten Verlängerung des medianen Gesamtüberlebens (14,9 vs. 11,3 Monate, Hazard Ratio [HR] 0,70;  $p < 0,001$ ) [Parker C et al. N Engl J Med. 2013; 369(3):213-23; Parker C et al. ASCO GU. 2015; Abstr 195]. Dabei hätten sich kaum therapieassoziierte Nebenwirkungen in der dreijährigen Nachbeobachtungszeit gefunden, betonte König.

Die Wirksamkeit und Sicherheit von Radium-223 bestätigten sich auch in einer offenen, prospektiven Beobachtungsstudie im Rahmen des Early Access Programs [Saad F et al. ASCO. 2015; Abstr 5034].

Zudem gab es laut König Hinweise auf ein verlängertes Gesamtüberleben, wenn die Patienten zusätzlich Enzalutamid oder Abirateron erhielten [O'Sullivan J et al. ECC. 2015; Abstr 2561].

Die Kombinationstherapie wird derzeit in mehreren Studien der Phase II und III untersucht. *Friederike Klein*

---

Presseveranstaltung „Praxiserfahrungen: Onkologie-Präparate von Bayer im klinischen Behandlungsalltag“, Deutscher Krebskongress, Berlin, 23. Februar 2016; Veranstalter: Bayer

## Morbus Gaucher: Enzymersatztherapie erreicht Behandlungsziele

— Bei Patienten mit nicht neuronopathischem Morbus Gaucher ist der Ansatz am Glukozerebrosidase-Mangel die Behandlung der Wahl. Während einer Enzymersatztherapie werden die Therapieziele nach Vorgaben der International Collaborative Gaucher Group für u.a. hämatologische Parameter und die Knochendichte mehrheitlich erreicht. Dies zeigen Post-hoc-Analysedaten einer Phase-III-Studie, in der ein Kollektiv von 39 zuvor therapie-naiven Patienten im medianen Alter von 29 Jahren eingeschlossen wurde [Elstein D et al. Mol Gen Metabol. 2016;117(2):S44]. Behandelt

wurde mit Velaglucerase alfa (Vpriv®) in einer mittleren Dosierung von 56,58 U/kg alle 14 Tage; der Beobachtungszeitraum war 27,5 bis 69,9 Monate. Mit dieser Therapie erreichten jeweils fast alle Patienten die angestrebten Zielwerte für hämatologische Parameter und die Knochendichte. Bei einem relevanten Anteil der Patienten habe sich sogar eine Normalisierung der Werte gefunden, sagte Hanno Riess, Berlin.

Vor dem Hintergrund potenziell schwerer Erkrankungskomplikationen bei guten Behandlungsmöglichkeiten hat die frühe Diagnosestellung bei M. Gaucher hohe Bedeu-

tung. Bei Thrombozyten  $> 150.000/\mu\text{l}$  und gleichzeitigem Nachweis einer Anämie oder einer Splenomegalie ist ein Test zur  $\beta$ -Glukozerebrosidase-Aktivität sinnvoll (Grenzwert:  $< 15\%$  der mittleren Normalaktivität). Da die Werte für Thrombozyten und Hämoglobin mitunter eher unauffällig im Grenzbereich liegen, sollte differenzialdiagnostisch auf weitere Laborparameter geachtet werden. *Daniel Neubacher*

---

Presse-Webcast „New Horizons in Haematology Conference: Morbus Gaucher und essentielle Thrombozythämie“, 11. März 2016; Veranstalter: Shire

## Immer mehr Patienten mit Hämoglobinopathien

— Erblisch bedingte Hämoglobinopathien wie Betathalassämie und Sichelzellerkrankheit kommen besonders häufig in Ländern des Mittelmeerraums, dem nahen und mittleren Osten, dem indischen Subkontinent, Asien und Teilen Afrikas vor. Für Deutschland wird die Zahl der Patienten mit Sichelzellerkrankheit auf 3.000 bis 5.000 geschätzt. In Bezug auf die Betathalassämie ist von etwa 1.500 Betroffenen auszugehen. Die Zahlen nehmen derzeit deutlich zu, weil viele der Flüchtlinge aus Risikoländern stammen. Diese Entwicklung stellt die wenigen spezialisierten Ärzte vor große He-

rausforderungen. Zum einen sind für Bluttransfusionen, die in der symptomatischen Therapie bei beiden Hämoglobinopathien eine wichtige Rolle spielen, oft nur schwer passende Konserven zu finden, weil die Spenden meist von Kaukasiern stammen. Zum anderen treten Defizite bei der Versorgung jetzt noch deutlicher zu Tage.

Stephan Lobitz, Berlin, forderte ein allgemeines Neugeborenen-Screening auf Träger der Mutationen von Hämoglobinopathien. Darüber hinaus hält er eine Weiterentwicklung der Therapieoptionen und den Aufbau von Expertenzentren für notwendig, damit

Patienten und Ärzte schneller kompetente Ansprechpartner finden. Zudem sprach er sich für ein bundesweites Register aus, um epidemiologische Daten für Deutschland zu erhalten.

Zur Reduktion der Morbidität und Mortalität der Eisenüberladung, die bei Polytransfundenen möglich ist, steht eine Eisenchelat-Therapie zur Verfügung. Sie erfolgt beispielsweise mit Deferasirox (Exjade®), dem ersten und einzigen einmal täglich oral einzunehmenden Chelator. *Petra Eiden*

---

Presse-Roundtable „Therapie von Hämoglobinopathien – Herausforderungen und Behandlungsstrategien“, 5. Hämatologie Heute Symposium, Berlin, 20. April 2016; Veranstalter: Novartis