

Bericht
von der POST-ASH Veranstaltung
vom 11. Januar 2014
in Osnabrück



**PATIENTEN
INTERESSEN
GEMEINSCHAFT**

Für MDS

Bergit Kuhle

2014-01

Mobil-Phone: 0160 967 30 966

Dieser Bericht ist eine Zusammenfassung einer Patientin und hat keinen Anspruch auf Vollständigkeit. Zu den genannten Medikamenten sind mit Sicherheit noch weitere Recherchen auf einschlägigen Fachseiten notwendig.

DER größte und renommierteste internationale Kongress für Hämatologie, „d e r ASH“ (ASH = **A**merican **S**ociety of **H**ematology) fand 2013 wie jedes Jahr Anfang Dezember und dieses Mal in New Orleans statt. Der Kongress wird von über 25.000 Hämatologen aus aller Welt und vielen Menschen aus dem Umfeld der in der Hämatologie und Onkologie Tätigen, Forschenden und Lernenden besucht. Dazu gehört inzwischen ein umfangreiches Satellitenprogramm von und für die Presse, von und für Pharmafirmen u. a. sowie von und für Patientenorganisationen.

Es kommt vor, dass bahnbrechende Forschungsergebnisse monatelang nur inoffiziell weiter gegeben oder sogar zurückgehalten werden, um dann publikumswirksam beim ASH präsentiert und zelebriert zu werden. Deswegen kann es einem als Patientenvertreter durchaus widerfahren, dass man den Patienten z.B. Informationen zu neuen Therapiemöglichkeiten „vom ASH mitbringen kann“, Informationen, die vorher in Deutschland noch nicht bekannt waren“, so über die LHRM (Leukämiehilfe Rhein-Main e.V.) bereits mehrfach geschehen. Allein das rechtfertigt den wahnsinnig anstrengenden Besuch beim ASH, gleichermaßen wie die vielfältigen Vernetzungen und der Austausch zwischen den dort ebenfalls anwesenden anderen Patientenvertretern.

Die myelodysplastischen Syndrome (MDS), bis vor 10 Jahren noch ein Stiefkind der medizinischen Forschung, sind inzwischen wesentlich stärker in den Fokus der hämatologischen Betrachtung gelangt. Immerhin 339 aller über 4.000 Beiträge auf dem ASH beschäftigten sich mit dieser Erkrankung.

Wenn man die Therapie- und Medikamenten- Entwicklungen sowie die Studienergebnisse des letzten Jahres in Fachartikeln und auf anderen Kongressen verfolgt hat, war klar, dass es für das MDS leider wieder keinen Durchbruch für kurative Therapieansätze geben würde.

Nach wie vor halte ich die Formulierung, MDS sei eine chronische Erkrankung nicht nur für euphemistisch (beschönigend) und irreführend, sondern für falsch. MDS ist nach wie vor eine unheilbare Erkrankung. MDS auf eine Stufe stellen zu können mit einer chronischen Erkrankung wie z.B. Diabetes wäre ein erster, lang ersehnter Schritt für MDS-Erkrankte. Leider ist die Forschung in dieser Richtung bisher nicht weiter gekommen, alle vielversprechenden Medikamente helfen nur

vorübergehend und darüber hinaus auch nur einem kleineren bis mittleren Prozentsatz der Erkrankten.

Die hochkarätigen Forscher an den medizinischen Fakultäten, in den Laboren und in den Unikliniken haben in den vergangenen Jahren allerdings ihre Hausaufgaben mit Hochdruck gemacht. Das heißt, dass das diagnostische Instrumentarium für die MDS-Erkrankung immer besser und differenzierter wird. Die Zytogenetik und, neuerdings verstärkt, die Molekulargenetik sind Bereiche, deren Zusammenhänge zunehmend erkannt, verstanden und (durch noch teure technische Verfahren) darstellbar gemacht werden können. Das gilt im Übrigen für viele maligne hämatologische Erkrankungen, nicht nur für MDS.

Außerdem muss gesagt werden, dass jeder Mensch im Laufe seines Lebens eine bestimmte Anzahl von Genmutationen erwirbt, ohne dass er notwendigerweise an Blutkrebs oder anderen Krebsarten erkrankt.

In den modernen diagnostischen Verfahren zum Aufspüren eines MDS geht es um die Mutationsanalyse von Einzelgenen bis hin zu einer genomischen Profilanalyse. Man kann diese Genmutationen inzwischen also sehen, studieren, ordnen und verwalten. Sie haben alle komplizierte Buchstaben- und Zahlenkombinationen als Namen bekommen. Man kann nun auf die Kombination mehrerer Mutationen, auf ihre Häufigkeit und den Zeitpunkt ihres Auftretens achten, man weiß – und das kann sich beinahe jeder Laie denken – das Genmutationen eine prognostische Relevanz für den MDS-Krankheitsverlauf haben. Durch die empirisch gewonnenen Daten der verschiedenen Krankheitsverläufe von Patienten weiß man auch schon einiges darüber, welche Genmutationen einen ungünstigen Einfluss auf das Gesamtüberleben und/oder auf eine potentiell frühere oder spätere Transformation in eine AML ausüben.

Leider aber haben alle diese beschreibenden Verfahren BISHIER KEINE THERAPEUTISCHE KONSEQUENZ. Auf Deutsch: Man sieht die „Störungen“ und Veränderungen, weiß durch Beobachtung eine Menge darüber, aber man kann sie nicht abstellen. Es gibt viele Forscher, die genau an dieser Schnittstelle arbeiten und es bleibt zu hoffen, dass Ehrgeiz und genügend Forschungsmittel möglichst bald dahin führen uns Patienten die notwendigen therapeutischen Konsequenzen in Form von Medikamenten anzubieten.

Auf dem Post-ASH Symposium am 11. Januar 2014 in Osnabrück informierten die Referenten u.a. kurz über die Erkenntnisse, die auf dem ASH zu einzelnen Krankheitsbildern dargeboten wurden. Zu MDS fasste Professor W.K. Hofmann aus Mannheim zusammen:

- Vidaza (Azacitidine) wird in Zukunft auch in Tablettenform erhältlich sein. Studien haben die gleiche Effizienz wie bei der subkutanen Verabreichung ergeben. Für Patienten, die viele Zyklen mit diesem Medikament durchlaufen müssen, eine unschätzbare Verbesserung für ihre Lebensqualität. Sie sind dann nicht mehr an ständige Krankenhausbesuche gebunden.

- Studien haben gezeigt, dass transfusionsabhängige Patienten statistisch eine wesentliche kürzerer Überlebensrate haben. Die Empfehlung lautet daher die HB-Schwelle, ab der transfundiert werden soll, herab zu senken von 8,0 g/dl in Richtung 7,0 g/dl. – [Anmerkung] Diese Senkung ist m.E. meines Erachtens ein reines Zahlenspiel, da der Transfusionsabstand bei hochtransfusionsbedürftigen Patienten (Transfusionsbedarf alle 10-14 Tage) dadurch höchstens um 2- 3 Tage verlängert wird.
- In einer Studie wurde festgestellt, dass das Medikament „Romiplostim“ (Markenname Nplate, der erste in Europa zugelassene thrombopoetische Wirkstoff) die Transformation in eine Leukämie weder auslöst noch beschleunigt.
- Das Medikament „Rigosertib“ (ein Kinase Inhibitor in Tablettenform, Markenname in den USA „Estybon“) scheint für Hoch-Risiko-Patienten vielversprechend zu sein. Laut einer PhaseII-Studie wurden > 40% der Patienten transfusionsunabhängig.
- Es gibt endlich ein MDS-Low-Risk-Maus-Modell. Es ist gelungen bei Mäusen MDS-Low-Risk auszulösen, dadurch hofft man auf die schnellere Entwicklung von Therapien gegen die Erkrankung in diesem Stadium auch bei Menschen.
- zur Stammzelltransplantation, der einzigen Heilungsmöglichkeit bei MDS, wurde vorgetragen,
 - o dass bei den Hoch-Risiko-Patienten die Begleiterkrankungen eine prognostisch ungünstigere Rolle spielen, als bei Niedrig-Risiko-Patienten,
 - o dass das Patientenalter eine immer geringere Rolle spielt bei einer Entscheidung für oder gegen eine Transplantation. Entscheidend sind das biologische Alter und die Gesamt- Performance eines Patienten. Dennoch ist von einer Transplantation nach dem 70. Lebensjahr eher abzuraten,
 - o dass Transplantationen mit Nabelschnurblut vor allem in den USA gute Ergebnisse zeigen. Transplantationen mit Nabelschnurblut sollten auch in Deutschland stärker zum Einsatz kommen.