

Alofisel® – Real-World-Daten zur Wirksamkeit

Datum: 26.04.2021

Original Titel:

Alofisel® – Real-World-Daten zur Wirksamkeit

Alofisel® hat sich in klinischen Studien bewährt und wurde daher 2018 für die Behandlung komplexer Perianalfisteln bei erwachsenen Patienten mit nicht-aktivem/gering-aktivem luminalen Morbus Crohn nach unzureichendem Ansprechen auf konventionelle oder biologische Therapien zugelassen.^{1,2,3,4} Erste Real-World-Daten bestätigten die Sicherheit und Wirksamkeit von Alofisel® außerhalb klinischer Studien.⁵ Weitere Real-World-Daten werden folgen.⁶

Alofisel® bietet einen innovativen und sphinkterschonenden therapeutischen Ansatz für die Behandlung von komplexen Perianalfisteln bei Morbus Crohn.¹ Es handelt sich hierbei um expandierte, allogene, mesenchymale, adulte Stammzellen aus Fettgewebe von gesunden Spendern, die nach chirurgischer Vorbereitung der Fistel in das Gewebe um die interne Fistelöffnung und entlang des Fistelgangs injiziert werden.² Alofisel® hat sich in klinischen Studien als verträglich und wirksam erwiesen, was 2018 zu einer Zulassung für die Behandlung komplexer Perianalfisteln bei erwachsenen Patienten mit nicht-aktivem/gering-aktivem luminalen Morbus Crohn nach unzureichendem Ansprechen auf konventionelle oder biologische Therapien führte.^{1,2,3,4} Doch wie sieht das in der Versorgungsrealität unter Alltagsbedingungen aus? Ist Alofisel® in der täglichen Praxis genauso verträglich und wirksam wie in klinischen Studien?

Real-World-Daten zur Sicherheit und Wirksamkeit von Alofisel®

Mediziner des UniversitätsSpitals Zürich (Schweiz) berichteten in einer aktuellen Veröffentlichung⁵ von ihren Erfahrungen mit Alofisel® bei 11 Erwachsenen mit nicht-aktivem/gering-aktivem luminalen Morbus Crohn im klinischen Alltag. Alle Patienten waren von komplexen Perianalfisteln betroffen – durchschnittlich bereits seit 7,8 Jahren.

Da immunsuppressive Behandlungen (1 Patient mit Tacrolimus, 10 Patienten mit TNF- α -Hemmern) in den letzten 6 Monaten erfolglos blieben, unterzogen sich die Patienten zwischen Februar 2019 und Juni 2020 einer Behandlung mit Alofisel® (lokale Injektion von 120 Millionen Stammzellen). Die Patienten waren im Durchschnitt 38,3 Jahre alt. Etwa $\frac{3}{4}$ von ihnen (72,7 %) waren Männer.

Kompletter Fistelverschluss bei knapp drei Viertel der Patienten

Nach einem medianen Follow-up von 41,5 Wochen erreichten 8 der 11 Patienten (72,7 %) einen vollständigen Verschluss der Fisteln. Bei 3 Patienten konnten die Wissenschaftler bereits 4 Wochen nach dem Eingriff eine vollständige Heilung der Fistel feststellen. Bei 5 weiteren Patienten war dies nach 6 Wochen der Fall.

4 der 11 Patienten (36,5 %) entwickelten einen perianalen Abszess. Doch nur 2 dieser Abszesse entwickelten sich im Bereich des ehemaligen Fisteltrakts.

Bei einem Patienten wurde 2 Wochen nach dem Eingriff eine Infektion mit dem Cytomegalievirus festgestellt. Ein Zusammenhang zwischen der Infektion und dem Eingriff konnte jedoch praktisch ausgeschlossen werden, da die Spenderzellen negativ auf das Cytomegalievirus getestet wurden.

Ein weiterer Patient entwickelte 16 Wochen nach dem Eingriff ein Hodenkarzinom. Doch auch dieses Ereignis konnte nicht auf die Behandlung mit Alofisel® zurückgeführt werden. Die Wissenschaftler halten einen Zusammenhang wegen der lokalen Anwendung von Alofisel® und der derzeit verfügbaren Datenlage für unwahrscheinlich. Weiteren Komplikationen traten keine auf.

Fazit: Die Sicherheit und Wirksamkeit von Alofisel®, die in klinischen Studien belegt wurden, konnten auch außerhalb von klinischen Studien im Praxisalltag bestätigt werden. Es ist jedoch anzumerken, dass sich die Fallserie auf nur 11 Patienten beschränkt. Weitere Real-World-Daten mit einer größeren Anzahl an Patienten werden folgen. Derzeit läuft eine nicht-interventionelle, multinationale Phase IV Studie (INSPIRE), in der Real-World-Daten über einen Zeitraum von 36 Monaten erhoben werden.⁶ Die Ergebnisse dieser Studie werden einen noch tieferen Einblick bezüglich der Sicherheit und Wirksamkeit von Alofisel® außerhalb von klinischen Studien geben. Doch schon jetzt ist deutlich: wenn Therapieversuche mit Immunsuppressiva gescheitert sind, stellt die Behandlung mit expandierte, allogene, mesenchymale, adulte Stammzellen aus Fettgewebe von gesunden Spendern eine weitere Möglichkeit dar, komplexe Perianalfisteln zu heilen.

Alofisel®-Therapie erfolgt in qualifizierten Zentren

Die Therapie mit Alofisel® wird in qualifizierten Anwenderzentren durchgeführt. Eine Übersicht dieser Zentren in Deutschland finden Sie [hier](#).

[Pflichttext Alofisel®](#)

Mit freundlicher Unterstützung der Takeda Pharma

Referenzen:

1. Panés J, García-Olmo D, Van Assche G, Colombel JF, Reinisch W, Baumgart DC, Dignass A, Nachury M, Ferrante M, Kazemi-Shirazi L, Grimaud JC, de la Portilla F, Goldin E, Richard MP, Leselbaum A, Danese S; ADMIRE CD Study Group Collaborators. Expanded allogeneic adipose-derived mesenchymal stem cells (Cx601) for complex perianal fistulas in Crohn's disease: a phase 3 randomised, double-blind controlled trial. Lancet. 2016 Sep 24;388(10051):1281-90. doi: 10.1016/S0140-6736(16)31203-X. Epub 2016 Jul 29. PMID: 27477896.
2. [Fachinformation Darvadstrocel \(Alofisel®\)](#), Stand November 2020
3. Panés J, García-Olmo D, Van Assche G, Colombel JF, Reinisch W, Baumgart DC, Dignass A, Nachury M, Ferrante M, Kazemi-Shirazi L, Grimaud JC, de la Portilla F, Goldin E, Richard MP, Diez MC, Tagarro I, Leselbaum A, Danese S; ADMIRE CD Study Group Collaborators. Long-

term Efficacy and Safety of Stem Cell Therapy (Cx601) for Complex Perianal Fistulas in Patients With Crohn's Disease. *Gastroenterology*. 2018 Apr;154(5):1334-1342.e4. doi: 10.1053/j.gastro.2017.12.020. Epub 2017 Dec 24. PMID: 29277560.

4. Spinelli A, Garcı a-Olmo D, Van Assche G, Colombel JF, Reinisch W, Baumgart DC, Bemelman W, Dignass A, Nachury M, Ferrante M, D'Hoore A, Grimaud JC, De la Portilla F; Stem Cell Therapy (Darvadstrocel) for treatment-refractory complex perianal fistulas in patients with crohn's disease: 2-year efficacy and safety data; 13th European Colorectal Congress, 2019; veröffentlich in: Adamina M; #ECCStGallen Scientific Committee. Abstracts presented at the 13th European Colorectal Congress (#ECCStGallen), 1-5.12.2019, St.Gallen, Switzerland. *Tech Coloproctol*. 2020 Apr 11:629-662. doi: 10.1007/s10151-020-02193-x. Epub ahead of print. PMID: 32277307.
5. Cabalzar-Wondberg D, Turina M, Biedermann L, Rogler G, Schreiner P. Allogeneic expanded adipose-derived mesenchymal stem cell therapy for perianal fistulas in Crohn's disease: A case series. *Colorectal Dis*. 2021 Feb 17. doi: 10.1111/codi.15587. Epub ahead of print. PMID: 33595166.
6. [INSPIRE: An observatioNal poSt-marketing registry on the effectiveness and safety of darvadstrocel in PatIents with CRohn's disease and complex pErianal fistulas](#). Letzter Aufruf am 19.03.2021

Referenzen: