

Erneuter Erfolg in der Leukämiebehandlung

Klinische Studie mit Beteiligung der Ulmer Universitätsmedizin zeigt: neue Erhaltungstherapie bewirkt signifikant längeres Überleben

Sie ist die häufigste Blutkrebsform bei Erwachsenen und äußerst schwer zu therapieren: die [akute myeloische Leukämie \(AML\)](#). Betroffene sprechen zwar oft auf die bisherigen Standardtherapien an, jedoch erleiden die meisten Patient*innen einen Rückfall ihrer Erkrankung. Wissenschaftler*innen verschiedener Institutionen aus 23 Ländern – unter anderem der Ulmer Universitätsmedizin – haben nun mit der internationalen Studie „QUAZAR“ gezeigt, dass eine Behandlung mit dem neuen Medikament CC-486 zu einem signifikant längeren Überleben führt. Co-Autor der Studie, die im renommierten New England Journal of Medicine veröffentlicht wurde, ist Professor Dr. Hartmut Döhner, Ärztlicher Direktor der Klinik für Innere Medizin III am Universitätsklinikum Ulm.

An der internationalen QUAZAR Studie konnten insgesamt 472 Patient*innen teilnehmen. Diese waren 55 Jahre oder älter und befanden sich nach einer intensiven Standardchemotherapie in kompletter [Remission](#), das heißt die [Leukämie](#) hatte sehr gut auf die initiale [Chemotherapie](#) angesprochen. Die Studienteilnehmer*innen erhielten entweder eine Therapie in Tablettenform mit dem Medikament CC-486 oder mit einem [Placebo](#), also einem Medikament ohne Wirkstoff. Bei denjenigen Patient*innen, die CC-486 einnahmen, konnte eine deutlich verbesserte Gesamtüberlebenszeit festgestellt werden. So betrug die mediane Lebenserwartung 24,7 Monate gegenüber der [Kontrollgruppe](#) mit 14,8 Monaten, was eine Verlängerung um fast zehn Monate ausmacht. Die Mediane Lebenserwartung – nicht zu verwechseln mit der durchschnittlichen Lebenserwartung – heißt, dass die Hälfte der CC-486-Patient*innen länger als 24,7 Monate überlebte. Untersuchungen haben außerdem ergeben, dass die Lebensqualität der Patient*innen durch die Behandlung mit CC-486 nicht beeinträchtigt wurde. Die Zulassung dieser neuen Behandlung durch die Europäische Zulassungsbehörde [EMA](#) (European Medicines Agency) wird für dieses Jahr erwartet.

Bei CC-486 handelt es sich um eine sogenannte hypomethylierende Substanz, die in die veränderte epigenetische Regulation der Leukämiezellen eingreift. „[Epigenetik](#)“ beschreibt die Modifikation von Eiweißen, die an die [DNA](#) Erbsubstanz binden, ohne dass die [DNA](#) Basen-Sequenz verändert ist. Durch „Hypomethylierung“ kann die normale Funktion von Genen wiederhergestellt werden, die für die Ausreifung und Teilung von Zellen kritisch ist. CC-486 stellt die Tablettenform des Medikaments Azacitidin dar, das üblicherweise [intravenös](#) oder [subkutan](#), das heißt in das Unterhautfettgewebe injiziert, verabreicht wird. Azacitidin ist für die Behandlung der [AML](#) älterer Patient*innen zugelassen, die nicht für eine intensive [Chemotherapie](#) geeignet sind.

„Das Konzept der [Erhaltungstherapie](#) nach einer intensiven Standardchemotherapie hat sich in den letzten Jahren bei der AML im Gegensatz zu anderen hämatologischen Erkrankungen nicht durchsetzen können. Mit CC-486 steht uns jetzt erstmals eine Erhaltungstherapie zur Verfügung, für die eine signifikante Verlängerung des Überlebens in einer kontrollierten Studie gezeigt werden konnte,“ erläutert Professor Hartmut Döhner, Ärztlicher Direktor der Klinik für Innere Medizin III am Universitätsklinikum Ulm und Co-Autor der Studie. „Die Erhaltungstherapie mit CC-486 wird in erster Linie für die älteren Patientinnen und Patienten eine Option sein, bei denen keine Stammzelltransplantation durchgeführt werden kann. Diese stellt nach wie vor die Behandlungsoption mit dem höchsten anti-leukämischen Effekt dar“, ergänzt Professor Döhner.

Die Erforschung der zellulären und molekularen Grundlagen der Leukämieentstehung sowie die Entwicklung neuer Medikamente für eine personalisierte Behandlung von Leukämien-Patient*innen ist seit vielen Jahren ein Schwerpunkt der Ulmer Universitätsmedizin. „Erst kürzlich konnten wir mit der Entwicklung des BCL-2 Hemmstoffs Venetoclax bei der AML über einen großen Erfolg in der Leukämiebehandlung berichten, an dem die Universitätsmedizin Ulm ebenfalls beteiligt war. Diese und andere Erfolge zeigen die enorme Bedeutung dieses klinischen Forschungsschwerpunkts für unseren Standort auf“, sagt Professor Thomas Wirth, Dekan der Medizinischen Fakultät an der Universität Ulm.

„Klinische Studien wie die QUAZAR Studie sind ein integraler Bestandteil der universitären [Krankenversorgung](#) und ermöglichen große Erfolge und Fortschritte in der Krebsmedizin. Als Universitätsklinikum können wir unseren Patientinnen und Patienten derartige neue Behandlungsmethoden direkt zugänglich machen“, ergänzt Professor Udo X. Kaisers, Leitender Ärztlicher Direktor und Vorstandsvorsitzender des Universitätsklinikums Ulm.

Literaturhinweis:

Wei AH, Döhner H, Pocock C, et al. [Oral](#) Azacitidine Maintenance Therapy for Acute Myeloid Leukemia in First [Remission](#). N Engl J Med. DOI: 10.1056/NEJMoa2004444