

Neue Therapieoption für Kinder mit Neuroblastomen

Neuroblastome (Nebennierentumoren) sind die häufigsten extrakraniellen Tumoren und die häufigsten bösartigen Tumoren im Kleinkindalter. Für viele betroffene Kinder stehen die Chancen auf Heilung bisher denkbar schlecht. Ein internationales Forschungsprojekt unter Beteiligung von Professor Dr. Selim Corbacioglu, Leiter der Abteilung für Pädiatrische Hämatologie, Onkologie und Stammzelltransplantation (PHOS) des Universitätsklinikums Regensburg (UKR), und seinem Team konnte nun zeigen, dass eine speziell entwickelte medikamentöse Krebstherapie (RIST) die Überlebenschancen der Kinder signifikant erhöhen kann.

Etwa 150 Kinder und Jugendliche pro Jahr erkranken in Deutschland an einem Neuroblastom. „Das Neuroblastom ist der häufigste Tumor außerhalb des Schädels und der häufigste bösartige Tumor im Kleinkindalter. Momentan können die große Mehrzahl der Hochrisikopatienten und insbesondere die Patienten mit einem rezidierten oder therapierefraktären Nebennierentumoren nicht geheilt werden. Mehr als die Hälfte der Kinder mit einem solchen Hochrisiko-Neuroblastom erleidet in den ersten beiden Jahren nach Diagnosestellung und trotz intensiver und auch nebenwirkungsreicher Therapie einen Rückfall. Die durchschnittliche Überlebenszeit beträgt dann gerade einmal sechs Monate“, fasst Professor Dr. Selim Corbacioglu, Leiter der Abteilung für Pädiatrische Hämatologie, Onkologie und Stammzelltransplantation, den bis dato aktuellen Stand für Kinder mit dieser Art von Erkrankung zusammen. Insbesondere wenn eine genetische Variante, die sogenannte MYCN-Amplifikation im Tumor, vorliegt, sei die Prognose besonders schlecht. Eine standardisierte Therapie existiert derzeit nicht.

Das könnte sich nun mit der RIST-rNB-2011-Studie ändern. RIST ist ein Akronym für eine innovative Therapie aus vier verschiedenen Medikamenten-Wirkstoffen, die als Vierfach-Kombination in der internationalen Studie unter Mitwirkung von Professor Corbacioglu und seinem Team erstmals bei Neuroblastomen zur Anwendung kamen. Hierbei zeigte sich, dass das Gesamtüberleben von Kindern, die an einem rezidierten Hochrisiko-Neuroblastom leiden, durch eine zielgerichtete Behandlung molekularer Signalwege signifikant verbessert werden kann. Bemerkenswert ist dabei, dass diese Kombinationstherapie das Überleben ausschließlich derjenigen Patienten mit einem MYCN-amplifizierten Neuroblastom, also dem mit dem höchsten Risiko behafteten Tumor, deutlich erhöht hat. Darüber hinaus wurde festgestellt, dass die Therapie mit der Vierfach-Kombination der Wirkstoffe sehr gut verträglich war, so dass sie ambulant durchgeführt werden konnte, was sich wiederum erheblich erleichternd auf die Situation der jungen Patienten und deren Familien deutlich auswirkte.

Weiterhin befürworten die erzielten Ergebnisse eine Einbeziehung der RIST-Therapie in die Ersttherapie von Patienten mit einem MYCN-amplifizierten Neuroblastom, um das Überleben zu verbessern und gleichzeitig die Chemotherapie-bedingten Nebenwirkungen zu reduzieren. Zelluläre Therapieoptionen wie eine Stammzelltransplantation, wie in dieser Studie gezeigt, oder eine chimäre Antigenrezeptor-T-Zelltherapie könnten vielversprechende Optionen sein, um eine hohe Überlebensrate zu gewährleisten, weil durch RIST erstmalig eine robuste und ausgeprägte Remission erzielt werden konnte.

Die Studie ist die weltweit größte ihrer Art. Sie wurde von der Deutschen Krebshilfe gefördert und über einen Zeitraum von zehn Jahren an über 40 kinderonkologischen Zentren in Deutschland und

Österreich durchgeführt. Die Ergebnisse wurden vor kurzem in der renommierten Fachzeitschrift Lancet Oncology publiziert. Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) unterstützt die wissenschaftliche Arbeit auf diesem Gebiet durch Zustimmung zur Kostenübernahme der zulassungsüberschreitenden Anwendung der vier Wirkstoffe im Rahmen der Studie RIST-rNB-2011 (<https://www.g-ba.de/service/fachnews/86/>).

Originalpublikation:

[https://www.thelancet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045\(24\)00202-X/fullt...](https://www.thelancet.com/journals/lanonc/article/PIIS1470-2045(24)00202-X/fullt...)