

Magazin der Deutschen Leukämie und Lymphomhilfe

Thema: Neuigkeiten beim Myelodysplastischen Syndrom

Nachdem in den letzten Jahren durch die Erarbeitung neuer Prognosesysteme hier vor allen das International Prognostic Scoring System in revidierter Version (IPSSR) und den CPSS (Chronic Myelomonocytic Leukemia Scoring System), ein Prognosesystem für Patienten mit chronischer myelomonozytärer Leukämie und dem MDS Komorbiditätsindex zur Abschätzung von der Bedeutung von Begleiterkrankungen sind in den letzten Jahren auch Fortschritte in Bezug auf die Behandlung der Patienten mit Myelodysplastischem Syndrom zu verzeichnen. 3 Substanzen sind in der Europäischen Union für die Behandlung von Patienten mit MDS zugelassen:

- 1) Das Medikament ExJade für Patienten, die dauerhaft transfusionsbedürftig sind zur Verhinderung von potentiellen Schäden durch die transfusionsbedingte Eisenüberladung.
- 2) Das Medikament Vidaza für Patienten mit Hochrisiko MDS und
- 3) Das Medikament Revlimid, eine Substanz für die Behandlung von Patienten mit MDS und 5q minus Anomalie, einer besonderen Veränderung des 5. Chromosoms.

Darüber hinaus steht für Patienten mit Hochrisiko MDS im Alter unter 65 – 70 Jahren mit der allogenen Blutstammzelltransplantation eine weitere Therapiemöglichkeit zur Verfügung. Dies ist die einzige Methode, bei der es zu dauerhaften Heilungen kommen kann.

Abgesehen von diesem standardmäßigen Vorgehen, hält die deutsche MDS Studiengruppe klinische Studien für Patienten bereit, bei denen eine Standardtherapie nicht geeignet erscheint, oder die aus verschiedenen Gründen auf die Standardtherapie nicht ansprechen oder das Ansprechen verloren haben.

Hier zu nennen sind zum einen der Einsatz neuer Substanzen wie insbesondere die Substanz ACE536 für niedrig-Risiko Patienten mit niedrigen Hämoglobin werten, die bei einem Teil der Patienten sehr erfreuliche Ergebnisse zeigt, ebenso wie die Substanzen, die in Kombination mit Vidaza für Patienten, die auf Vidaza nicht ansprechen geprüft werden. Außerdem sind Studien mit für andere Erkrankungen bereits zugelassenen Substanzen auch für MDS Patienten interessant. So werden zum Beispiel die Medikamente Eltrombopag und Romiplostin für thrombozytopenische Patienten geprüft, sowie das Medikament Decitabine im Vergleich zu Hydroxyurea für die Patienten mit proliferativer CML geprüft. Darüber hinaus gibt es Studien, die im Wert von Vidaza vor allogener Transplantationen testen und auch Studien mit verschiedenen Substanzen für Patienten die nach einer Transplantation erneute Krankheitsaktivität aufweisen. Die angehängte Tabelle gibt einen Überblick über die verschiedenen klinischen Studien. Grundsätzlich ist die Deutsche MDS Studiengruppe bemüht, möglichst immer viele Zentren für die Studien zu aktivieren um möglichst vielen Patienten den Zugang zu neuen Substanzen in klinischen Studien zu ermöglichen. Weitere Informationen finden Sie auf www.mds-register.de und www.mds-verbundprojekt.de und www.emsco.de

[Prof. Dr. Ulrich Germing](#)

Aktuelle MDS Studien in Deutschland Stand 1.4.2015

Studienkurzname	Kurzbeschreibung	Patientenkollektiv
<u>ALLIVE IIT</u>	Beobachtungsstudie, Bedeutung des transfusionsbedingten Lebereisens (MRT) sowie LPI für die Prognose von Patienten nach allogener SZT	MDS oder AML mit Ferritin >500 ng/ml vor allogener SZT
<u>BI 1230-33</u>	Phase 1 Dosisescalationsstudie zur Sicherheit und Wirksamkeit von Volasertib (i.v.) in Kombination mit Azacitidin (s.c.)	MDS IPSS INT-2 und HIGH, Erstlinie und CMML
<u>DACOTA IIT</u>	Phase 3, Decitabine versus Hydroxyurea	CMML proliferativ
<u>AZA-MDS-003</u>	Phase 3, orales Azazytidin vs. Standard	MDS IPSS INT-1 /Anämie (2 Eks/Monat) und Thrombopenie (<50)
<u>ROMDS IIT</u>	Phase 1 Azacitidin + Romidepsin (HDAC Inhibitor) i.v.	MDS int2 und high, CMML, AML Kein Ansprechen oder Progress nach 6 Zyklen Vidaza
<u>RELAZA2 IIT</u>	Phase 2, Wirksamkeit von Azacitidin über 6 Monate bzgl. Rückfall-Verhinderung	MDS IPSS INT-II und Hochrisiko; AML alle außer FAB3
<u>CIARA-C-SCT IIT</u>	Phase 2, Clofarabin/Ara-C oder FLAMSA vor SZT	Hochrisiko AML, MDS IPSS ≥ 2
<u>PANOBEST IIT</u>	Phase 1/2, MTD und DLT von Panobinostat	Hochrisiko AML, MDS IPSS ≥ 2
<u>VidazaAllo IIT</u>	Phase 2, 5 Zyklen Azacitidin und Spendersuche, falls Spender allo Trapla, falls kein Spender weiter Azacitidin	MDS >55 Jahre, die für allo Trapla geeignet sind, INT-2 und HIGH/INT-1 mit High-risk-Karyotyp
<u>AZA-Lena IIT</u>	Phase 2, Azacitidin+ DLI + Lena im Rezidiv nach alloTrapla	HIGH/INT-1 mit High-risk-Karyotyp

In Planung:

Studienkurzname	Kurzbeschreibung	Patientenkollektiv
<u>Europa IIT</u>	Romiplostim Phase 2	MDS IPSS LOW/INT-1 Thrombozytopenie
<u>QOL Eltrombopag IIT</u>	Phase 3, Eltrombopag vs. Plazebo	MDS IPSS LOW/INT-1 Thrombozytopenie