

Aufregende Fortschritte beim Myelom: FDA-Zulassung von Melphalan Flufenamid und wichtige Forschungsergebnisse wurden veröffentlicht

4. März 2021

Am 26. Februar [genehmigte](#) die Food and Drug Administration (FDA) Melphalanflufenamid (Pepaxto®) in Kombination mit Dexamethason zur Behandlung von rezidiviertem oder refraktärem Myelom bei Patienten, die mindestens vier Linien einer vorherigen Therapie erhalten haben, einschließlich eines IMiD-Proteasom-Inhibitors und eines CD38-gerichteten monoklonalen Antikörpers.

Laut der [Ausgabe des Journal of Clinical Oncology vom 1. März 2021](#), ist Pepaxto® ein Stickstoffsensitizer der nächsten Generation, ein erstklassiges Mittel, das in der Phase-II-HORIZON-Studie bewertet wurde. [Die Studie](#) umfasste 157 Patienten und führte bei ansprechenden Patienten zu einer Gesamtansprechrate von 29 Prozent und einem PFS (progressionsfreies Überleben) von 8,5 Monaten. Das Sicherheitsprofil war akzeptabel und die Schlussfolgerung des Hauptautors Dr. Paul Richardson lautet, dass Pepaxto eine wichtige neue Behandlung für Patienten mit rezidivierter oder refraktärer Erkrankung ist. Die Ergebnisse werden in der [randomisierten OCEAN-Studie](#) weiter ausgewertet, in der die Ergebnisse mit Pomalidomid plus Dexamethason verglichen werden.

DAS FAZIT: Es ist großartig, eine weitere Möglichkeit mit einem einzigartigen neuen Wirkmechanismus zur Verfügung zu haben. Wir freuen uns auf weitere Studien mit verschiedenen Kombinationen in früheren Krankheitsbildern.

Veröffentlicht in NEJM: Ergebnisse der CAR-T-Therapie-Studie von idecabtagene vicleucel

Am 28. Februar wurden [die Ergebnisse der Phase-II-Studie bei](#) Patienten mit refraktärem Myelom im NEJM veröffentlicht. In dieser Studie wurden die Patienten mit T-Zellen (autolog, das heißt ihre eigenen T-Zellen) behandelt, die so konstruiert waren, dass sie auf das B-Zell-Reifungsantigen (BCMA) auf der Oberfläche des Myeloms abzielen. Von 140 eingeschlossenen Patienten erhielten 128 eine Ide-cel-Therapie. Die Gesamtansprechrate (OR) betrug 73 Prozent, wobei 33 Prozent ein vollständiges Ansprechen (CR) und 26 Prozent eine negative MRD (minimale Resterkrankung) in einem Bereich von 10 bis -5 erreichten. Niedrige Blutbilder und das Zytokin-Freisetzungssyndrom (CRS) waren die häufigsten toxischen Wirkungen. Ein CRS Grad 3 oder höher (schwerwiegend) trat jedoch nur bei 5 Prozent der Patienten auf.

Insgesamt waren die Ergebnisse mit einer mittleren Ansprechdauer von 10,7 Monaten, einem progressionsfreien Überleben (PFS) von 8,8 Monaten und einem Gesamtüberleben von 19,4 Monaten äußerst vielversprechend. Patienten, die ein vollständiges Ansprechen oder besser erreichten, hatten eine längere Ansprechdauer von 19 Monaten.

Die gute Nachricht ist, dass ungefähr ein Drittel der Patienten im Bereich von ein bis zwei Jahren oder besser ein aussagekräftiges Ansprechen erzielte, was eine hervorragende Lebensqualität gegenüber jeder Art von konventioneller Anti-Myelom-Therapie ermöglicht - ein großer Vorteil!

Die Ide-Cel-Therapie wird derzeit von der FDA geprüft und Empfehlungen bezüglich einer möglichen offiziellen Zulassung werden später in diesem Monat verfügbar sein.

Andere kürzlich veröffentlichte Artikel

- **Immundysregulation beim Myelom**

[Eine ausgezeichnete Übersicht in der Zeitschrift Blood](#) mit Kyehei Nakamura als Erstautor ermöglicht die Komplexität und Dynamik der Immunantwort bei Patienten mit Myelom zu verstehen. Das Immunsystem des Wirts (oder das normale Immunsystem) "fungiert als Schiebewiderstand, der das

Gleichgewicht zwischen Inaktivität und Fortschreiten der Krankheit einstellt", schreibt er. Jede der verschiedenen Stromazellen (diejenigen, die das Myelom im Knochenmark umgeben) hat einzigartige Funktionen bei der Modulation des Wachstums und der Persistenz von Myelomzellen.

- **Ergebnisse der Tiefen-MRD-Profilierung**

[Ein wichtiger Artikel](#) mit [einem begleitenden Leitartikel](#) in Blood hebt die verschiedenen Aspekte und die Bedeutung des MRD-Tests bei Patienten mit Standardrisiko gegenüber Patienten mit höherem Risiko für Myelom hervor. Das Erreichen eines negativen MRD-Status (in einem Bereich von 10 bis -5 oder besser) ist für Patienten mit Hoch-Risiko-Krankheiten entscheidend, um die Chancen auf ein besseres Ergebnis maximal zu verbessern. Patienten mit einer Standard-Risiko-Krankheit erreichen mit größerer Wahrscheinlichkeit einen MRD-negativen Status und profitieren in diesem Umfeld von einem deutlich verbesserten Ergebnis.

- **Behandlungsempfehlungen der IMWG Knochen-Arbeitsgruppe**

Anfang Februar wurden die Empfehlungen zur Knochentherapie in [Lancet Oncology](#) veröffentlicht. Dieses wichtige Update beinhaltet eine Diskussion des neuen Wirkstoffs Denosumab, einer Alternative zu Bisphosphonaten wie Aredia oder Zometa. Die Dauer von Knochentherapien und die Rolle von Strahlentherapie und Operation werden ebenfalls diskutiert.

Das Fazit

Es ist wunderbar zu sehen, dass die Myelomforschung mit der Zulassung eines weiteren neuen Wirkstoffs und der möglichen Zulassung einer ersten CAR-T-Zelltherapie für Myelom in naher Zukunft stark voranschreitet. In der Zwischenzeit müssen die Patienten während dieses MYELOMA-AKTIONS-MONATS stark und resilient bleiben (siehe das IMF Living Web-Webinar zur Resilienz).

Die Verbesserung der Resilienz ist heutzutage definitiv ein wichtiges Ziel. "Die einjährige Krise hat die psychische Gesundheit schrecklich belastet", schreibt Melinda Wenner Moyer in der aktuellen Ausgabe von Scientific American. "Bewältigungsmethoden, die auf Katastrophen- und Traumapsychologie basieren, können helfen." Moyer zitiert Mana Ali, einen Psychologen am

MedStar Rehabilitationskrankenhaus: "Man kann sich verängstigt und ängstlich und wütend und ärgerlich fühlen und gleichzeitig ein Sieger und resilient sein." Wenn Sie sich alleine fühlen, schlägt der Artikel vor, sich bei Caring Calls - einem gemeinnützigen Dienst, der wöchentliche Telefongespräche ermöglicht, indem Sie (212) 769-2850 anrufen - anzumelden.

Es ist wichtig, dass Patienten so schnell wie möglich gegen COVID-19 geimpft werden und weiterhin eine Maske tragen und andere Vorsichtsmaßnahmen treffen. Bitte beachten Sie, dass es in Ordnung ist, die frühestmögliche Impfung zu erhalten. Geimpft zu werden ist das Hauptziel!

Bleiben Sie gesund und sicher.