

12. Dezember 2017

---

## Schwere aplastische Anämie: Eltrombopag reduziert Inanspruchnahme medizinischer Leistungen

**Der Thrombopoetin-Rezeptoragonist Eltrombopag ist neben der Immun-Thrombozytopenie auch zugelassen zur Behandlung von Patienten mit schwerer erworbener aplastischer Anämie, die auf eine immunsuppressive Therapie nicht angesprochen haben und für eine allogene Stammzelltransplantation nicht infrage kommen. In 2 großen Kliniken in Frankreich und den USA wurden Daten von 34 solchen Patienten mit refraktärer aplastischer Anämie gesammelt (1), um mehr über die ökonomische Belastung durch diese Krankheit zu erfahren.**

Die Patienten, im Mittel 43 Jahre alt und gleichmäßig auf die beiden Geschlechter verteilt, hatten zum Zeitpunkt der Erhebung knapp 5 Jahre lang mit der Diagnose gelebt, so Anuja Roy, East Hanover, bei der Jahrestagung der American Society of Hematology (ASH) in Atlanta. 33 von ihnen hatten als Primärtherapie Anti-Thymozyten-Globulin (ATG) in Kombination mit einem Calcineurin-Inhibitor mit oder ohne Kortikosteroide erhalten. Am häufigsten wurden als Zweitlinientherapie Eltrombopag (n=6; 17,6%) und Androgene gegeben (n=3; 8,8%). Die mediane Behandlungsdauer mit dem Thrombopoetin-Rezeptoragonisten betrug 6,4 Monate, die längste Frist lag bei 53,4 Monaten.

Im Mittel über das gesamte Kollektiv wurden 2,8 Erythrozyten- und 3,3 Thrombozytenkonzentrate pro Monat verabreicht, die Patienten wurden im Mittel 0,8x im Jahr stationär aufgenommen und suchten 0,5x die Notaufnahme auf; 19x im Jahr wurden sie ambulant vorstellig, bevor eine Transplantation durchgeführt werden konnte. In der Subgruppe von Patienten, die mit Eltrombopag behandelt wurden, reduzierten sich die Zahlen der Erythrozytentransfusionen von 2,4 auf 0,9 pro Monate, die der Thrombozytenübertragungen von 3,0 auf 1,3. Auch die Inanspruchnahme medizinischer Leistungen ging unter dieser Therapie zurück.

30 der 34 Patienten (88,2%) erhielten binnen etwas mehr als einem Jahr nach Beginn der immunsuppressiven Therapie eine Stammzelltransplantation, 10 verstarben während der Nachbeobachtung, davon 9 nach der Transplantation. Bei 2 Patienten wurde eine Transformation zu einem myelodysplastischen Syndrom und/oder einer akuten myeloischen Leukämie beobachtet.

Dies ist eine der ersten Studien, die die Inanspruchnahme von Gesundheitsleistungen durch Patienten mit refraktärer schwerer aplastischer Anämie analysiert. Bei der kleinen Subgruppe von Patienten, die als Zweitlinientherapie Eltrombopag erhielten, war eine tendenzielle Abnahme des Bedarfs an medizinischen Leistungen zu beobachten, die natürlich aufgrund der geringen Patientenzahlen nicht statistisch signifikant ausfiel.

*Josef Gulden*

*Quelle: 59. Jahrestagung der American Society of Hematology (ASH 2017)*

*Literatur:*

(1) A Retrospective Chart Review to Assess Burden of Illness Among Patients with Severe Aplastic Anemia with Insufficient Response to Immunosuppressive Therapy. Presented at ASH 2017, [#678](#).