

17. Juni 2020

Sichelzellerkrankung: Verbesserung der Lebensqualität ist wichtigstes Therapieziel aus Sicht der Patienten – neue Behandlungsoptionen erwünscht

Bei einem Satelliten-Symposium von Novartis im Rahmen der virtuellen Jahrestagung der European Hematology Association (EHA) 2020 stellten Experten die Ergebnisse des „International Sickle Cell World Assessment Surveys“ (SWAY) vor, der größten jemals durchgeführten globalen Umfrage zur Sichelzellerkrankung (SCD). Die aktuellen Daten unterstreichen den negativen Einfluss der Erkrankung auf alle Bereiche des täglichen Lebens und werfen ein Licht auf die Behandlungsoptionen der Patienten, die sich seit Jahrzehnten kaum verbessert haben. Die Patienten gaben an, dass das Erreichen einer besseren Lebensqualität für sie oberste Priorität habe und sie sich neue Therapieoptionen wünschen, insbesondere im Rahmen des Schmerzmanagements.

Die SCD ist eine Multiorganerkrankung, die durch das pathologische Hämoglobin S (HbS) verursacht wird, dem wiederum eine Punktmutation im β -Globin-Gen zugrunde liegt. Letztlich kommt es zu einer sichelartigen Verformung der Erythrozyten, die dadurch weniger elastisch sind und einer verstärkten Hämolyse unterliegen. Klinisch ist die Erkrankung durch die Trias vaso-okklusive Krisen (VOCs), hämolytische Anämie und funktionelle Asplenie gekennzeichnet.

Mit SWAY wurden erstmals in globalem Umfang die meist jungen Patienten und (in geringerem Umfang) auch die Verantwortlichen der Gesundheitsversorgung (healthcare provider) nach den Symptomen der SCD und deren Einfluss auf das körperliche und emotionale Befinden sowie auf verschiedene Aspekte des täglichen Lebens befragt. Außerdem wurde die Zufriedenheit der Patienten mit ihren derzeitigen Therapien sowie der Wunsch nach therapeutischen Änderungen erfragt. An der Studie nahmen 2.145 Patienten und 365 healthcare provider aus 16 Ländern und 5 Kontinenten teil. Die Patienten waren im Mittel 24,6 Jahre alt (Range 6-75) und gleichmäßig auf beide Geschlechter verteilt.

Dr. Raffaella Colombatti, Padua, Italien, betonte die hohe Symptomlast der Erkrankung, die in der SWAY-Befragung zum Ausdruck kam. 65% der Patienten klagten über Fatigue, 51% über Knochenschmerzen und 47% über Kopfschmerzen in den Monaten vor der Befragung. Als häufigste Komplikationen wurden Fieber (64%), Gelenkbeschwerden (56%) und Infektionen (54%) genannt. Die hohe Krankheitslast wirkte sich auch auf das emotionale Wohlbefinden der Patienten sehr negativ aus. Frustrationen (59%), Stress (49%), Depressionen (45%) und Ängste (44%) wurden häufig genannt, oft verbunden mit dem Gefühl der Einsamkeit. Interessanterweise beurteilten healthcare provider die emotionale Lage der Patienten noch schlechter als die Patienten selbst, was Colombatti als Zeichen dafür wertet, dass die Patienten sich resigniert an ihren reduzierten emotionalen Status gewöhnt hätten und „nichts mehr vom Leben erwarteten“. Colombatti erinnerte daran, dass nur 36% der SCD-Patienten professionelle emotionale Unterstützung erhielten, sich 62% der Patienten diese aber wünschten.

Stark belastet werden SCD-Patienten auch durch die immer wieder auftretenden, schmerzhaften VOCs, wie Dr. Ifeyinwa Osunkwo, Charlotte, NC, USA, berichtete. In der SWAY-Befragung gaben 91% der Patienten an, im Jahr vor der Befragung mind. 1 VOC erlitten zu haben. Insgesamt wurden 11.317 VOCs berichtet; die mediane Prävalenz lag bei 5,3 VOCs pro Patient. Die VOCs wirkten sich kurzfristig (hohe Hospitalisierungsrate, Einfluss auf

Schule und Arbeit), aber auch langfristig negativ aus, weil sie das Risiko für schwere und multiple Organschäden erhöhten. Rund ein Viertel der VOCs wurden trotz der damit einhergehenden starken Schmerzen von den Patienten zu Hause gemanagt – insbesondere deshalb, weil in den Kliniken und Notfallambulanzen der Umgebung zu wenig Erfahrung mit der Krankheit bestand. Mit einem Schmerz-Aktionsplan sollen die Patienten laut Osunkwo nun Handreichungen erhalten, die einen bestmöglichen Umgang mit VOCs erlauben. Osunkwo erinnerte daran, dass Notfallambulanzen eine „suboptimale Umgebung“ für betroffene Patienten darstellten. Unter anderem seien Patienten wegen mangelnder Erfahrung der dort tätigen Therapeuten und Pflegekräfte oft einem Stigma des Drogenmissbrauchs ausgesetzt, weil sie z.T. Opioide zur Schmerzbekämpfung einsetzen müssten. Ein tagesklinischer Ansatz, der auch das Mentoring durch Peer-Gruppen und weitere kompetente, auch emotionale Unterstützung beinhalte, sei eher dazu geeignet, das VOC-Management und damit auch die Gesamtsituation der Patienten längerfristig zu verbessern.

John James, London, UK, der die SWAY-Daten aus Sicht der britischen Patientenorganisation Sickle Cell Society kommentierte, betonte, dass SCD der Umfrage zufolge einen stark negativen Einfluss auf alle Bereiche des täglichen Lebens der Patienten ausübe, von Bildung, Arbeit und Einkommen über Verrichtungen des täglichen Lebens bis hin zu Beziehungen und sozialen Interaktionen. „Die SCD hat damit einen tiefen negativen Effekt auf die Lebensqualität“, erklärte James. In diesem Kontext sei es auch nicht verwunderlich, dass 55% der befragten Patienten in SWAY angaben, eine Verbesserung der Lebensqualität sei für sie das wichtigste Therapieziel – noch vor dem Verhindern einer Krankheitsverschlechterung (43%) und der Reduktion von VOCs (30%).

Hydroxyurea (HU) ist derzeit das einzige Medikament mit krankheitsmodifizierendem Potenzial, das bei der SCD im klinischen Alltag zum Einsatz kommt; 31% der SWAY-Patienten standen unter einer Behandlung mit HU. Eine wesentliche Bedeutung bei der SCD hat auch das Schmerzmanagement, bei dem laut SWAY in 37% der Fälle frei erwerbende Schmerzmittel und in je 34% der Fälle antientzündliche Substanzen sowie Opioide zum Einsatz kamen. 33% der Patienten erhielten zudem Antibiotika; weiterhin nahmen viele Patienten Supplemente wie Folsäure (59%) oder Vitamin D (34%) ein.

Wie James berichtete, zeigten sich zwei Drittel der Patienten zufrieden mit ihren Medikationen, sowohl was die Gesamtbehandlung als auch die Therapie mit HU und Opioiden betraf. Dies erklärte James damit, dass es „über Dekaden und Dekaden und Dekaden“ keine Therapieneuheiten gegeben habe und die Patienten sich notgedrungen mit ihren bisherigen Medikationen arrangiert hätten. Gleichzeitig machte sich aber jeder zweite Patient Sorgen über Kurzzeitnebenwirkungen der Medikamente, und zwei Drittel der Patienten sorgten sich über deren Langzeitnebenwirkungen. Außerdem, so James, seien Patienten rund um den Globus in Sorge über die Wahrnehmung starker Schmerzmedikationen. 72% der SWAY-Patienten gaben an, sie wünschten sich alternative Behandlungen zum Schmerzmanagement.

Um die Situation von Patienten mit SCD weltweit zu verbessern, haben laut James folgende Punkte oberste Priorität: mehr Aufmerksamkeit für die Erkrankung schaffen, der durch Unwissenheit bedingten Stigmatisierung der Patienten entgegenwirken und neue Therapien entwickeln, die zu besserer Lebensqualität führen. Diese Herausforderungen könnten nur durch internationale Zusammenarbeit gemeistert werden.

Dr. rer. nat. Claudia Schöllmann

Quelle: Satelliten-Symposium „Multiple Perspectives on the Burden and Management of Sickle Cell Disease, including patient voices from the SWAY Survey“, EHA25 Virtual, 12.06.2020; Veranstalter: Novartis