

29. Januar 2019

M. Gaucher: 8-Jahresdaten zeigen klinisch relevante Verbesserungen durch Eliglustat

Die Langzeittherapie mit Eliglustat führt zu langfristiger Verbesserung viszeraler und hämatologischer Parameter, einer dauerhaften Normalisierung der Knochendichte und Verbesserung der Lebensqualität. Schwer betroffene Patienten scheinen dabei am meisten zu profitieren.

Eliglustat (Cerdelga®) ist die erste und einzige orale Erstlinientherapie für erwachsene Patienten mit Morbus Gaucher Typ 1 (1). Wie aktuelle Langzeitdaten der Phase-II-Studie zeigen, blieben die initial erreichten Verbesserungen auch über einen Zeitraum von 8 Jahren stabil oder konnten noch weiter ausgebaut werden (2,3). Alle Patienten erreichten mind. 3 der 4 Langzeit-Therapieziele – wobei die Patienten mit den schlechtesten Ausgangswerten am meisten von einer Langzeittherapie mit Eliglustat profitierten (3).

Neben einer signifikanten Verbesserung von Milz- und Lebervolumen, Hämoglobinwert und Thrombozytenzahl konnte über einen Zeitraum von 8 Jahren auch eine dauerhafte Stabilisierung oder Normalisierung der Knochendichte erreicht werden (3). Eliglustat erwies sich nicht nur als langfristig wirksam, sicher und verträglich, auch die Lebensqualität der Patienten mit M. Gaucher verbesserte sich: War der SF36-Score zu Beginn der Studie noch in 6 von 8 Kategorien unterdurchschnittlich, so normalisierte er sich innerhalb von 8 Jahren in allen Bereichen (3).

Quelle: Sanofi

Literatur:

(1) Fachinformation Cerdelga®, Stand 11/2018.

(2) Lukina E et al. *Blood* 2010;116:893-9.

(3) Lukina E et al. *Am J Hematol* 2019;94(1):29-38.