

Prophylaxe bei schwerer Hämophilie A: Emicizumab anhaltend wirksam und verträglich

Knapp 3 Jahre nach der Zulassung von Emicizumab (Hemlibra[®]) für die Prophylaxe bei schwerer Hämophilie A zeigt eine Langzeitauswertung der Zulassungsstudien eine anhaltende Wirksamkeit und Verträglichkeit des bispezifischen Antikörpers. In Großbritannien hat man zudem gute Erfahrungen auch bei älteren Hämophilie-Patienten gemacht.

Insgesamt waren rund 400 pädiatrische, adoleszente und erwachsene Patienten mit und ohne Inhibitor in die Zulassungsstudien eingeschlossen. Wie PD Dr. Robert Klamroth, Berlin, berichtete, zeigt nun eine kumulative Auswertung, dass eine Prophylaxe mit Emicizumab über eine mediane Behandlungszeit von 120 Wochen anhaltend geringe Blutungen gewährleistete – über die Studiendauer hinweg betrug die jährliche Blutungsrate 1,4. Zugleich lag der Anteil der Patienten ohne behandelte Blutungen im ersten halben Jahr nach Studienbeginn bei 70% und stieg danach dauerhaft auf Werte über 80%. Im letzten Analyse-Zeitraum (Woche 121-144) hatten 82% der Patienten keine behandelten Blutungen mehr, weitere 15% wiesen 1 bis 3 behandelte Blutungen auf. Bei 95% der Zielgelenke wurden nur maximal 2 spontane oder traumatische Blutungsereignisse innerhalb von 12 Monaten beobachtet, sodass sie nicht weiter als Zielgelenke einzustufen sind. Die Verträglichkeit von Emicizumab blieb anhaltend gut (1).

Gute Erfahrungen bei älteren Patienten

Wie Prof. MD Charles Hay, Manchester, berichtete, wurden in Großbritannien bis September 2020 insgesamt 22% der Hämophilie A-Patienten ohne Inhibitor, die für eine Umstellung infrage kamen, auf Emicizumab umgestellt, wobei der Anteil zwischen den einzelnen Zentren erheblich variierte. Darunter befinden sich auch ältere Patienten, und darunter solche mit kardiovaskulären Risikofaktoren und/oder zurückliegenden Herzinfarkten und Schlaganfällen. Wie Hay erinnerte, haben ältere Hämophilie-Patienten häufig schwere Arthropathien, die mit chronischen Schmerzen und limitierter Beweglichkeit einhergehen, Probleme mit den Venen sowie multiple Komorbiditäten. Allerdings waren in den Zulassungsstudien lediglich 13 der gut 400 Patienten 65 Jahre oder älter. In Hays Erfahrung können auch diese Patienten von Emicizumab profitieren, etwa durch eine Verbesserung der Schmerzen und Beweglichkeit. Vermehrte Herzinfarkte, Schlaganfälle oder eine erhöhte Mortalität wurden in Großbritannien trotz sorgfältiger Pharmakovigilanz bislang nicht verzeichnet.

Dr. Anne Benckendorff

Quelle: Symposium „Emicizumab's impact on patients' lives“ im Rahmen des virtuellen GTH Kongresses 2021, am 24.02.2021;

Veranstalter: Roche und Chugai Pharma

Literatur:

(1) Callaghan MU et al. *Blood* 2020; doi: 10.1182/blood.2020009217