

## Pressemitteilung

---

18.03.2018

Seite 1 / 4

### Medac auf dem EBMT 2018

## **Hochwirksam bei reduzierter Toxizität – Treosulfan-basiertes Regime ist neue, vielversprechende Konditionierungstherapie bei MDS und AML**

- **Die allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation ist die einzig potenziell kurative Therapieoption bei MDS und AML, die zu den häufigsten malignen Bluterkrankungen bei Erwachsenen gehören**
- **Die Konditionierungstherapie ist ein entscheidender Faktor für den Therapieerfolg, allerdings noch immer mit hoher Morbidität und Mortalität assoziiert**
- **Auf dem EBMT präsentierte neue Phase-III-Studiendaten<sup>1</sup> belegen erheblichen klinischen Vorteil hinsichtlich Gesamtüberleben mit einem Treosulfan-basierten Reduced-Toxicity Konditionierungsregime**

*Lissabon, Portugal / Wedel, Germany (18. März 2018). „Es besteht ein großer Bedarf an Konditionierungstherapien mit maximal antileukämischer Wirkung bei gleichzeitig reduzierter Toxizität“, betonte Prof. Arnon Nagler, Tel Hashomer/Israel, im Rahmen des Medac-Satellitensymposiums auf der diesjährigen 44. Jahrestagung der European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT). Hier stellt die Treosulfan-basierte Reduced-Toxicity Konditionierung (RTC) von Medac eine vielversprechende neue Therapieoption dar. Diese*

---

<sup>1</sup> Medac-Satellitensymposium „New Clinical Trial Data on Treosulfan-based Conditioning Therapy“, 18. März 2018, im Rahmen der 44. Jahrestagung der European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT) in Lissabon, Portugal.

## Pressemitteilung

18.03.2018

Seite 2 / 4

Treosulfan-Therapie zeichnet sich durch eine hohe, den myeloablativen Verfahren vergleichbare, Intensität und antileukämische Wirkung aus, bei gleichzeitig deutlich reduzierter Toxizität.<sup>2,3,4</sup>

Die allogene hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSZT) ist die einzig potenziell kurative Therapieoption bei vielen malignen, wie auch nicht-malignen Erkrankungen.<sup>5</sup> Der Transplantation zwingend vorgeschaltet sind vorbereitende Konditionierungstherapien. Als Standard gelten hier Konditionierungen mit myeloablativen, hoch-dosierten, toxischen Regimen, die für Risikogruppen allerdings nicht in Frage kommen.<sup>6</sup> Deshalb wird seit Langem an intensitätsreduzierten Konditionierungsregimen, sogenannten Reduced-Intensity Konditionierungstherapien (RIC), geforscht.<sup>7,6</sup>

Die bisherigen RIC-Verfahren haben dazu beigetragen, dass mehr Risikopatienten, wie ältere und komorbide Erkrankte, mit einer Stammzelltransplantation behandelt werden können. Dies führte zu einem weltweiten Anstieg allogener HSZT.<sup>5,8</sup> So auch bei der akuten myeloischen Leukämie (AML) und den myelodysplastischen Syndromen (MDS)<sup>5</sup>, häufigen malignen Bluterkrankungen, die vorwiegend bei älteren, häufig auch komorbiden, Erwachsenen diagnostiziert werden. AML- und MDS-Erkrankungen sind meist mit einer schlechten Prognose assoziiert, die sich mit zunehmendem Alter weiter verschlechtert.<sup>9</sup> Die derzeit etablierten RIC-Regime haben allerdings den Nachteil, dass sie zwar mit einer reduzierten Transplant-Related Mortality (TRM) assoziiert sind, jedoch gleichzeitig mit einem erhöhten Risiko für einen Relapse und/oder ein Transplantatversagen einhergehen.<sup>5,8</sup>

### **Konditionierung mit Treosulfan – klinisch relevanter Überlebensvorteil**

Prof. Dietrich Beelen, Essen/Deutschland, präsentierte im Rahmen des Symposiums nun Daten der aktuell größten, internationalen, prospektiven Phase-III-Studie zur Konditionierungstherapie mit

<sup>2</sup> Ruutu T et al. *Haematologica*. 2011;96(9):1344-50.

<sup>3</sup> Casper J et al. *Bone Marrow Transplantation*. 2012;47(9):1171-77.

<sup>4</sup> Shimoni A et al. *Bone Marrow Transplant*. 2012;47(10):1274-82.

<sup>5</sup> Niederwieser D et al. *Bone Marrow Transplant*. 2016;51(6):778-85.

<sup>6</sup> Bacigalupo A et al. *Biol Blood Marrow Transplant*. 2009;15(12):1628-33.

<sup>7</sup> Sakellari I et al. *Biol Blood Marrow Transplant*. 2017;23:445-51.

<sup>8</sup> Mohty B, Mohty M. *Blood Cancer J*. 2011;1(4):e16.

<sup>9</sup> Juliusson G et al. *Blood*. 2009;113(18):4179-87.

## Pressemitteilung

---

18.03.2018

Seite 3 / 4

Treosulfan.<sup>10</sup> Die vergleichende Studie untersuchte ein Treosulfan-Fludarabin-basiertes Konditionierungsregime als Alternative zu der intensitätsreduzierten Busulfan-Fludarabin-Therapie bei 476 vorwiegend älteren und zum Teil komorbiden AML- und MDS-Patienten, bei denen die allogene HSZT indiziert war. Bemerkenswert an den Studienergebnissen sind neben dem vorzeitigen Erreichen des primären Studienziels die herausragenden Ergebnisse der sekundären Endpunkte, insbesondere mit Blick auf das Overall Survival und die Transplant-Related Mortality. So war das Gesamtüberleben (Overall Survival) in der Treosulfangruppe mit 71,3 % deutlich höher als mit 56,4 % bei der Busulfan-basierten Konditionierungstherapie. Gleichzeitig war die TRM beim Treosulfan-basierten Regime mit 12,1 % wesentlich niedriger als beim Busulfan-Vergleichsarm mit 28,2 %. Beelen betonte abschließend *„Wir sprechen hier von einem erheblichen klinischen Vorteil des Treosulfan-basierten Konditionierungsregimes. Für die untersuchten Patienten stellt das Treosulfan-basierte Regime somit eine vielversprechende neue Konditionierungstherapie dar, die das Potenzial hat, zum neuen Standard zu werden.“*

### **Effektiv und gut verträglich auch bei Kindern und nicht-malignen Erkrankungen**

Sehr gute Ergebnisse für die Treosulfan-basierte Konditionierungstherapie zeigen sich auch in anderen Indikationen. Dr. Lauri Burroughs, Seattle/USA, präsentierte neue Daten einer Phase-II-Studie mit 72 Transplantationspatienten zu nicht-malignen Erkrankungen, wie beispielsweise angeborenen Immundefekten oder Stoffwechselerkrankungen. Diese bestätigen die Wirksamkeit und Sicherheit des Treosulfan-Fludarabin-basierten Konditionierungsregimes und, so Burroughs, deuten auch bei diesen Patientengruppen auf ein verbessertes Überleben hin.

Die im Rahmen des Symposiums erstmalig präsentierten Daten einer Phase-II-Studie bei 70 pädiatrischen Patienten im Alter von 28 Tagen bis 18 Jahren bestätigten die hohe Wirksamkeit und Sicherheit der Konditionierung mit Treosulfan ebenfalls bei Kindern mit malignen Bluterkrankungen. Prof. Krzysztof Kalwak, Breslau/Polen, betonte, dass die guten Ergebnisse, auch hinsichtlich der Non-

---

<sup>10</sup> ClinicalTrials.gov. Clinical Phase III Trial to Compare Treosulfan-based Conditioning Therapy With Busulfan-based Reduced-intensity Conditioning (RIC) Prior to Allogeneic Haematopoietic Stem Cell Transplantation in Patients With AML or MDS Considered Ineligible to Standard Conditioning Regimens. NCT0082239. URL: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT00822393> (Stand: 16.03.2018).

## Pressemitteilung

---

18.03.2018

Seite 4 / 4

Relapse Mortality (NRM), für den Einsatz der Treosulfan-basierten Konditionierungstherapie bei Kindern sprechen. Theo Reimers, PhD, Breda/Niederlande, leitete im Rahmen seiner pharmakokinetischen Modellberechnungen zu Treosulfan für eben diese pädiatrischen Patienten auf Basis der Körperoberfläche Dosierungsempfehlungen für die verschiedenen Altersgruppen ab.

Basierend auf den präsentierten Ergebnissen kann das hochwirksame Treosulfan-basierte Konditionierungsregime mit seinem niedrigen Toxizitätsprofil als die neue Konditionierungstherapie erachtet werden.

5.676 Zeichen (einschließlich Leerzeichen)

### **Kontakt für die Medien**

Pressesprecher  
Volker Bahr  
Tel. +49 (0)4103 – 8006 9111  
Fax +49 (0)4103 – 8006 8934  
[presse@medac.de](mailto:presse@medac.de)

medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate mbH  
Theaterstraße 6  
D – 22880 Wedel  
[www.medac.de](http://www.medac.de)

### **medac Gesellschaft für klinische Spezialpräparate mbH**

medac ist ein deutsches pharmazeutisches Unternehmen in privater Hand mit Standorten in Wedel und Tornesch. Arzneimittel von medac unterstützen Ärzte und Patienten weltweit in der Bewältigung ihrer akuten und andauernden Erkrankungen in den Indikationsbereichen Onkologie & Hämatologie, Urologie und gegen Autoimmunerkrankungen. Darüber hinaus entwickelt und vertreibt medac spezielle diagnostische Testsysteme. Dem Ansatz, Therapeutika und Diagnostika unter einem Dach zu vereinen, ist medac seit 1970 verpflichtet.

Weitere Informationen zum Unternehmen und seinen Produkten sind im Internet unter [www.medac.de](http://www.medac.de) abrufbar.