



13.06.2014 - 08:35 Uhr

Gdf -11 Ein neues Ziel zur Linderung der Anämie bei Thalässemie

Mailand (ots/PRNewswire) -

Dr. Olivier Hermine präsentiert beim 19. EHA-Kongress neue Behandlungsmöglichkeiten für Thalässemie-Patienten

beta-Thalässiemien sind typischerweise mit mangelhafter Produktion von roten Blutzellen (RBC) verbunden, was zu Anämie, zu viel Eisengehalt im Blut und Organversagen führt. Da zurzeit nur begrenzte Behandlungsmöglichkeiten für beta-Thalässemie zur Verfügung stehen, besteht eindeutig ein Bedarf an alternativen Therapien. Wir haben in der Vergangenheit bereits an Tiermodellen gezeigt, dass GDF-11, ein Zytokin, in grossen Mengen produziert wird und zur verringerten Produktion von roten Blutzellen beiträgt. In dieser Studie erhielten 32 erwachsene Patienten mit beta-Thalässemie alle 3 Wochen subkutan 0,1 (n = 8), 0,3 (n = 9), 0,5 (n = 8), oder 0,75 (n = 7) mg/kg Sotatercept (ein Fusionsprotein, das GDF-11 hemmt) verabreicht.

Drei Patienten (9 %) berichteten über unerwünschte Ereignisse greater than or equal to 2. Grades: 2 (25 %) in der Gruppe mit der Dosis von 0,1 mg/kg (Knochenschmerzen und oberflächliche Thrombophlebitis) und 1 (13 %) in der Gruppe mit der Dosis von 0,5 mg/kg (zusätzliche Ventrikelsystolen).

Unter den Patienten mit nicht transfusionsabhängiger beta-Thalässemie (n = 22) erreichte ein höherer Anteil von Patienten einen maximalen Hämoglobinstieg greater than or equal to 1 g/dL in den Gruppen mit den Dosen von 0,3 (67 %), 0,5 (83 %) und 0,75 (100 %) mg/kg im Vergleich zu der Gruppe mit der Dosis von 0,1 mg/kg (0 %).

Des Weiteren erreichte unter den Patienten mit transfusionsabhängiger beta-Thalässemie (n = 10) ein höherer Anteil von Patienten eine Reduktion der Transfusionsbelastung greater than or equal to 20 % in den Gruppen mit den Dosen von 0,3 (33 %), 0,5 (50 %) und 0,75 (67 %) mg/kg im Vergleich zu der Gruppe mit der Dosis von 0,1 mg/kg (0 %).

Sotatercept kann für Patienten mit beta-Thalässemie mit einem günstigen Sicherheitsprofil vorteilhaft sein. Es ist auch Gegenstand von Phase-2-Versuchsreihen für die Behandlung von Anämie bei myelodysplastischen Syndromen, der Diamond-Blackfan-Anämie, chronischer myelomonozytischer Leukämie, Myelofibrose und Nierenkrankheit im Endstadium.

Vortragender: Dr. Olivier Hermine

Beschäftigt bei: Abteilung für Hämatologie, Imagine Institute, INSERM U 1163 CNRS ERL 8564, Labex Red Cells, Hôpital Necker-Enfants Malades, Paris, Frankreich

Thema: Gdf -11 - Ein neues Ziel zur Linderung der Anämie bei Thalässemie.

Kurzfassung S662 wird am Samstag, dem 14. Juni 2014 von 8:00 - 9:15 Uhr im Raum Brown 3 (SW - Level 2) von Dr. John Porter präsentiert.

Informationen zum Jahreskongress der EHA

Hämatologie ist ein medizinisches Fachgebiet, das alles abdeckt, was mit Blut zu tun hat: seiner Bildung im Knochenmark, Blutkrankheiten und ihre Behandlung. Präsentiert werden die letzten Daten aus Forschung und Entwicklung. Die Themen reichen von Stammzellphysiologie und -entwicklung bis hin zu Leukämie, Lymphom und Myelom - Diagnose und Behandlung, Störungen bei roten und weissen Blutzellen und Blutplättchen, Thrombose und Blutungsstörungen.

Kontakt:

Ansprechpartner

EHA-Zentrale

Ineke van der Beek, Jon Tarifa

E-Mail: communication@ehaweb.org

Mobiltelefon: +31(0)6-2011-1055

Diese Meldung kann unter <https://www.presseportal.ch/de/pm/100010412/100757560> abgerufen werden.