

Thrombotisch-Thrombozytopenische Purpura

Caplacizumab versus Placebo bei Patienten mit erworbener TTP (Hercules-Studie, Abstract LBA1), <https://ash.confex.com/ash/2017/webprogram/Paper109057.html>

Fragestellung

Führt Caplacizumab zu einer Reduktion der TTP-assoziierten Mortalität, des Rezidivrisikos und schwerer thromboembolischer Komplikationen im Vergleich zu Placebo?

Hintergrund

Die erworbene TTP ist eine lebensbedrohliche Erkrankung. Pathogenetisch verantwortlich sind Autoantikörper gegen die vWF-spaltende Zinkprotease ADAMTS13, was zu vermehrten intravaskulären von Willebrand-Faktor / Thrombozyten-Aggregaten und mikrovaskulären Thrombosen führt. Caplacizumab ist ein bivalenter Nanobody. Er bindet an die A1 Domäne des von Willebrand-Faktors (vWF) und hemmt die Interaktion zwischen vWF und Thrombozyten.

Ergebnisse

Risikogruppe	Kontrolle	Neue Therapie	N ¹	Tod, Rezidiv, TE ²	Tod ³	Rezidiv ⁴
TTP, Z. n. einmaliger Plasmapherese	Placebo	Caplacizumab	145	45 vs 13 ⁵ p < 0,0001	4,1 vs 0	38,4 vs 4,2

¹N - Anzahl Patienten; ²Tod, Rezidiv, schwere thromboembolische Komplikation (TE) – zusammengefasster Studienendpunkt; ³Tod – TTP-assoziiertes Tod, in %; ⁴Rezidiv – in %; ⁵Ergebnis für Kontrolle, Ergebnis für Neue Therapie;

Zusammenfassung der Autoren

Caplacizumab ist eine neue Therapieoption bei Patienten mit TTP. Häufigste Nebenwirkungen sind Schleimhautblutungen. Die Therapie sollte bis zur Rückbildung aller Krankheitszeichen fortgeführt werden.

Kommentar

Caplacizumab ist eine wirksame Therapie bei Patienten mit TTP. Vor allem die Rezidivrate wird durch Caplacizumab gesenkt. Die TTP-bedingte Mortalität war in dieser Studie niedrig.