

Myelodysplastische Syndrome (MDS) mit Ringsideroblasten (RS)

Luspatercept bei Patienten mit MDS und Ringsideroblasten, Transfusionsbedürftigkeit und niedrigem oder intermediärem Risiko (Medalist Studie, Abstract 1)

<https://ash.confex.com/ash/2018/webprogram/Paper110805.html>

Fragestellung

Kann die Therapie mit Luspatercept bei Patienten mit MDS und Ringsideroblasten sowie (nach IPSS-R) sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko die Erythrozytentransfusionsbedürftigkeit vermindern?

Hintergrund

Bei Patienten mit MDS und Ringsideroblasten besteht häufig ein Erythrozytensubstitutionsbedarf über Jahre, aber kein Bedarf für eine intensivere Therapie. Luspatercept induziert die Differenzierung von Erythrozyten durch selektive Bindung an Liganden der TGF β Superfamilie. Es wird subkutan appliziert. In der Medalist-Studie wurden Patienten 2:1 für Luspatercept vs Placebo randomisiert.

Ergebnisse

Patienten	Risikogruppe	Kontrolle	Neue Therapie	N ¹	Transfusionsunabhängigkeit über 8 Wochen ² (OR ³)	Transfusionsunabhängigkeit über 12 Wochen (OR)
MDS mit Ringsideroblasten	Erythrozytentransfusionsbedarf	Placebo	Luspatercept	229	13,2 vs 37,9 ⁴ 5,1 ⁵ p < 0,0001	7,9 vs 28,1 5,1 p = 0,0002

¹ N - Anzahl Patienten; ²Transfusionsunabhängigkeit, in %; ³OR – Odds Ratio: ⁴Ergebnis für Kontrolle, Ergebnis für Neue Therapie;
⁵ Odds Ratio für Neue Therapie;

Zusammenfassung der Autoren

Luspatercept führte zu einer signifikanten Reduktion der Substitutionsbedürftigkeit mit Erythrozytenkonzentraten und wurde gut vertragen.

Kommentar

Luspatercept ist eine Alternative zur regelmäßigen Transfusion mit Erythrozytenkonzentraten bei MDS-Patienten mit Ringsideroblasten und niedrigem oder intermediärem Risiko nach IPSS-R. Etwa 40% der Patienten blieben nach 1 Jahr transfusionsunabhängig.