

Sichelzellkrankheit

Hydroxyharnstoff bei Kindern mit Sichelzellkrankheit in Subsahara-Afrika (REACH, Abstract 3) <https://ash.confex.com/ash/2018/webprogram/Paper113818.html>

Fragestellung

Ist die prophylaktische Gabe von Hydroxyharnstoff bei Kindern mit Sichelzellkrankheit in Subsahara-Afrika durchführbar, sicher und wirksam?

Hintergrund

Die prophylaktische Gabe von Hydroxyharnstoff führt bei Patienten mit Sichelzellkrankheit zur Steigerung des Hämoglobin-Gehaltes sowie zur Reduktion von Komplikationen wie Schmerzkrisen, dem akuten Thoraxsyndrom und Schlaganfällen. Fast alle bisherigen Studien wurden in Europa und in den USA durchgeführt. Es ist unklar, ob die Daten auf die Versorgung der Bevölkerung in Afrika übertragbar sind. Diese Phase I/II Studie wurde in 4 Zentren in Angola, Kenia, Kongo, und Uganda durchgeführt.

Ergebnisse

Risikogruppe		Kontrolle	Neue Therapie	N ¹	Hb ²	Sichelzell-bezogene Ereignisse ³ (IRR ⁴)	Malaria-Infektionen (IRR ⁴)
Sichelzellkrankheit	Kinder im Alter von 1 - 10 Jahren	Zeit vor der Behandlung	Hydroxyharnstoff	606	+ 1,0	114,5 vs 53,0 ⁵ 0,47 ⁶	46,9 vs 22,9 0,49

¹ N - Anzahl Patienten; ²Hb – Hämoglobin in g/dl; ³Sichelzell-bezogene Ereignisse – Schmerzkrisen, Gefäßverschlüsse, akutes Thoraxsyndrom als Ereignisse pro 100 Patientenjahre; ⁴IRR – Incidence Rate Ratio; ⁵Ergebnis für Kontrolle, Ergebnis für Neue Therapie; ⁶Hazard Ratio für Neue Therapie;

Zusammenfassung der Autoren

Die prophylaktische Gabe von Hydroxyharnstoff war sicher, durchführbar und wirksam. Die Therapieadhärenz betrug 94,2% nach 3 Jahren. Dosis-limitierende Toxizität trat bei 5,1% der Patienten auf.

Kommentar

Bis zu 1% der Neugeborenen in Subsahara-Afrika leiden an der Sichelzellkrankheit. Die Prophylaxe mit Hydroxyharnstoff ab dem frühen Kindesalter kann Morbidität und Mortalität senken. Die erforderliche Dosierung scheint unterhalb der bei uns eingesetzten Dosis zu liegen. Die Daten wurden zeitgleich im New England Journal of Medicine publiziert, <https://www.nejm.org/doi/pdf/10.1056/NEJMoa1813598>.