

Myelodysplastische Neoplasien (MDN)

Imetelstat bei transfusionsabhängigen MDN mit niedrigem oder intermediärem Risiko nach Versagen von Erythropoese-stimulierenden Faktoren (IMerge, Zeidan et al.). [Program Guide – ASCO Meeting Program Guide](#)

Fragestellung

Führt die Therapie mit Imetelstat zur Transfusionsfreiheit bei Patientinnen und Patienten (Pat.) mit transfusionsabhängigem MDN (non del(5q)) mit niedrigem oder intermediärem Risiko nach Versagen von Erythropoese-stimulierenden Faktoren?

Hintergrund

Transfusionsabhängigkeit ist eines der charakteristischen und belastenden Krankheitssymptome von Pat. mit MDN. Standard bei Pat. mit einem Erythropoietinspiegel <500 U/l ist die Therapie mit Erythropoese-stimulierenden Faktoren. Abhängig von weiteren Risikofaktoren wie der Transfusionsabhängigkeit bei bis zu 75 % der entsprechend ausgewählten Pat. erreicht werden. In der Regel ist das Ansprechen nach spätestens 6 Monaten Therapie zu erwarten. Imetelstat ist ein direkter, kompetitiver Apoptose-Inhibitor. In einer Phase-II-Studie beim transfusionsabhängigen MDN konnte nach 8 Wochen eine Transfusionsfreiheit bei 42% der Pat. erreicht werden. Jetzt wurden die Daten der Phase-III-Studie vorgestellt.

Ergebnisse

Studie	Risikogruppe	Kontrolle	Neue Therapie	N ¹	Transfusionsunabhängigkeit		
					nach 8 Wochen ²	nach 1 Jahr ²	Dauer ³ (HR ⁴)
IMerge	MDN, non del(5q), niedriges oder intermediäres Risiko ≥4 Transfusionen / 8 Wochen	Placebo	Imetelstat	178	15,0 vs 39,8 ⁵ p < 0,001	1,7 vs 13,6 p = 0,012	13,3 vs 51,6 0,23 ⁶ p < 0,001

¹ N – Anzahl Pat.; ² Rate in %; ³ Median in Monaten; ⁴ HR – Hazard Ratio; ⁵ **Ergebnis für Kontrolle, Ergebnis für Neue Therapie**; ⁶ **Hazard Ratio für Neue Therapie**;

Zusammenfassung der Präsentation

Die intravenöse Therapie mit Imetelstat führte zu einer signifikanten und nachhaltigen Reduktion der Transfusionsbedürftigkeit. Häufigste Nebenwirkungen sind transiente Neutropenie und Thrombozytopenie.

Kommentar

Imetelstat führte zu einem signifikanten, mittleren Hb-Anstieg und bei etwa 40% der Pat. zur Transfusionsunabhängigkeit. Weitere Daten zum Effekt von Imetelstat auf das MDN stehen aus.