

Moxetumomab Pasudotox: Stand der Forschung beim Wirkstoff zur Behandlung von Kindern mit akuter lymphatischer Leukämie

Datum: 11.06.2021

Original Titel:

Phase 1 study of the anti-CD22 immunotoxin moxetumomab pasudotox for childhood acute lymphoblastic leukemia

DGP - In dieser Studie wurde mit Moxetumomab Pasudotox ein neuartiger Wirkstoff zur Behandlung von Kindern mit ALL untersucht. Der Wirkstoff hatte eine vertretbare Giftigkeit mit kontrollierbaren Nebenwirkungen und zeigte erste Wirksamkeit bei rückfälliger und schwer behandelbarer ALL. Ob das Medikament weiter bei ALL eingesetzt werden kann, ist allerdings unklar, da es nicht in allen Studien überzeugen konnte.

Trotz des Fortschritts, der in den letzten Jahren bei der Behandlung von Kindern mit akuter lymphatischer [Leukämie](#) (ALL) gemacht wurde, ist die Lage für junge Patienten mit hohem Risiko oder rückfälliger ALL immer noch schwierig. Gegenwärtige Therapien bergen das Risiko für starke Nebenwirkungen, und neue Therapien müssen die Widerstandsfähigkeit ([Resistenz](#)) der Krebserkrankung gegen eine [Chemotherapie](#) überwinden. Ein neuer Wirkstoff mit Potenzial ist Moxetumomab Pasudotox. Dieses sogenannte [Antikörper](#)-Wirkstoff-Konjugat kann als Kombination aus biopharmazeutischem Wirkstoff (Biologikum) und daran gekoppelten Giftstoff gezielt Krebszellen erkennen und abtöten.

Gezielt Krebszellen erkennen und mit angekoppeltem Giftstoff abtöten

Wissenschaftler aus den USA und Kanada haben eine erste, frühe Studie zur Sicherheit und Wirksamkeit von Moxetumomab Pasudotox durchgeführt. Der Wirkstoff kam bei insgesamt 55 Kindern und jungen Erwachsenen mit ALL zum Einsatz. Moxetumomab Pasudotox wurde in steigenden Konzentrationen (5 bis 50 µg pro kg Körpergewicht) als 30-minütige [Infusion](#) verabreicht. Die Gabe erfolgte an sechs oder zehn Tagen innerhalb von 21 Tage langen Therapiezyklen (Wiederholungen der Therapie).

Frühe Studie zur Sicherheit und Wirksamkeit des [Antikörper](#)-Wirkstoff-Konjugats bei ALL

Die häufigsten unerwünschten Nebenwirkungen waren Gewichtszunahme, Transaminaseanstieg in der Leber (mögliche Leberschädigung) und Hypoalbuminämie (erniedrigter Gehalt an [Albumin](#) im Blut). Eine häufige, dosisbegrenzende [Nebenwirkung](#) war das sogenannte Kapillarlecksyndrom, welches eine erhöhte Durchlässigkeit der Blutgefäßwände beschreibt. Durch die zusätzliche Gabe von Dexamethason konnte diese [Nebenwirkung](#) größtenteils verhindert werden. Von 47 Patienten erreichten 32 % ein Ansprechen auf die Behandlung. Davon hatten elf Patienten (23 %) eine vollständige [Remission](#) (andauernde Abschwächung der Symptome ohne Heilung). Aufgrund der Nebenwirkungen wurden sechs Gaben mit 50 µg/kg Moxetumomab Pasudotox als empfohlene Dosis

für weiterführende Studien ermittelt.

Vorerst vielversprechend: erste Wirksamkeit bei rückfälliger und schwer behandelbarer ALL

In dieser Studie wurde mit Moxetumomab Pasudotox ein neuartiger Wirkstoff zur Behandlung von Kindern mit ALL vorgestellt. Der Wirkstoff hatte eine vertretbare Giftigkeit mit kontrollierbaren Nebenwirkungen. Außerdem zeigte Moxetumomab Pasudotox erste Wirksamkeit sogar bei rückfälliger und schwer behandelbarer ALL. Ob das Medikament weiter bei ALL eingesetzt werden kann, ist noch unklar. Offenbar konnte es bislang nicht in allen Studien überzeugen. Aktuell wird das Medikament vor allem zur Behandlung von Haarzell-[Leukämie](#) in klinischen Studien getestet und scheint hierbei verlässlicher zu wirken.

Referenzen:

Wayne AS, Shah NN, Bhojwani D, Silverman LB, Whitlock JA, Stetler-Stevenson M, Sun W, Liang M, Yang J, Kreitman RJ, Lanasa MC, Pastan I. Phase 1 study of the anti-CD22 immunotoxin moxetumomab pasudotox for childhood acute lymphoblastic leukemia. Blood. 2017 Oct 5;130(14):1620-1627. doi: 10.1182/blood-2017-02-749101. Epub 2017 Aug 9.

MERKZETTEL

für das Gespräch mit Ihrer Ärztin oder Ihrem Arzt

Damit Sie viel aus dem Gespräch mit Ihrer Ärztin/Ihrem Arzt mitnehmen, empfehlen wir Ihnen, Ihre Beschwerden, aber auch Ihre Behandlungsziele sowie alle Ihre Fragen zu notieren. Wichtig für das Arztgespräch ist eine Liste der **Medikamente oder Nahrungsergänzungsmittel**, die sie derzeit verwenden. Über eventuelle **Allergien und Unverträglichkeiten** sollten Sie Ihre Ärztin/Ihren Arzt ebenfalls immer informieren. Nutzen Sie hierfür unseren Vordruck „Meine Medikations- und Behandlungsübersicht“.

Meine Beschwerden und/oder Behandlungsziele

Meine Fragen

Folgende Themen/Studien möchte ich besprechen

Welches Thema beschäftigt Sie? Was haben Sie z. B. in aktuellen Studien gelesen?

Notieren Sie die wichtigsten Punkte des Arztgesprächs

So bemerken Sie schnell, ob Sie alles richtig verstanden haben und ob Fragen unbeantwortet blieben

Meine Notizen zum Gespräch am _____:

Weitere Tipps für das Arztgespräch finden Sie unter „Materialien für den Arztbesuch“