

## Pressemitteilung

### Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

**Dr. Anna-Sabine Ernst**

19.02.2008

<http://idw-online.de/de/news247540>

Forschungs- / Wissenstransfer, Forschungsergebnisse  
Ernährung / Gesundheit / Pflege, Medizin  
überregional



## Kinder und Jugendliche könnten von Stammzelltransplantation durch Fremdspender profitieren

### Neue Studie liefert Hinweise auf Vorteile gegenüber der Immunsuppression bei aplastischer Anämie

Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) hat den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) auf neue Studienergebnisse zum möglichen Nutzen der Transplantation von Stammzellen eines nicht verwandten Spenders bei Patienten mit einer erworbenen schweren aplastischen Anämie hingewiesen. Diese könnten das Fazit eines bereits im April 2007 vorgelegten IQWiG-Abschlussberichts verändern. Das IQWiG hat die erst seit Kurzem verfügbare, in Japan durchgeführte Studie bewertet und seine Erkenntnisse am 19. Februar 2008 in Form eines Arbeitspapiers publiziert.

Es handelt sich dabei um die bisher einzige prospektiv geplante Studie mit einer Kontrollgruppe: Sie vergleicht insgesamt 52 Patienten mit einer schweren oder sehr schweren aplastischen Anämie im Alter unter 18 Jahren, bei denen die immunsuppressive Therapie im ersten Anlauf versagt hatte: 31 von ihnen erhielten anschließend eine Stammzelltransplantation von einem nicht verwandten Spender. Die restlichen 21, für die kein geeigneter Spender hatte gefunden werden können, bekamen eine zweite Immunsuppression.

Nur knapp 10% der Patienten sprechen auf erneute Immunsuppression an

Was den primären Endpunkt der Studie betrifft, das "Überleben ohne Therapieversagen", berichten die Autoren von nahezu dramatischen Unterschieden: Während lediglich 9,5% der erneut mit Immunsuppressiva Behandelten entsprechend der Definition in der Studie innerhalb von 6 Monaten ganz oder teilweise auf die Therapie ansprachen, konnte dies bei 83,9% der Transplantierten erreicht werden, ohne dass die Erkrankung erneut auftrat oder die Patienten verstarben. Allerdings unterschied sich die Zahl der Überlebenden im Beobachtungszeitraum von 5 Jahren nur unwesentlich (Immunsuppression: 95,2%, Transplantierte: 93,5%).

Die Ergebnissicherheit der Studie ist nach Auffassung der Kölner Wissenschaftler u.a. dadurch eingeschränkt, dass die Gruppen nicht vollständig vergleichbar waren und sich hinsichtlich des Geschlechts und der Schwere der Erkrankung unterschieden. Dennoch ordnen sie den Stellenwert der Fremdspender-Transplantation anders ein und sehen nun zumindest bei Kindern und Jugendlichen Hinweise auf einen (Zusatz-)Nutzen im Vergleich zur Immunsuppression. Im April 2007 waren sie auf Basis der bis dahin verfügbaren Studiendaten noch zu dem Ergebnis gekommen, dass eine verlässliche Bewertung der Transplantation von Stammzellen nicht verwandter Spender gar nicht möglich wäre, weil gesicherte Daten fehlten. Auf die jetzt bewertete japanische Studie hatte das IQWiG im Abschlussbericht bereits hingewiesen. Sie konnte aber nicht berücksichtigt werden, weil sie zum damaligen Zeitpunkt noch nicht vollständig publiziert und mit hinreichender Sicherheit interpretierbar war.

URL zur Pressemitteilung: <http://www.iqwig.de>

