

Press release**Universität zu Lübeck****Rüdiger Labahn**

06/30/2016

<http://idw-online.de/en/news655365>Research results, Scientific Publications
Medicine
transregional, national**Neue zielgerichtete Therapie für Mastozytose entwickelt****Ergebnisse einer neuen Studie könnten erstmals einen echten Durchbruch in der Behandlung der seltenen Haut- und Organerkrankung darstellen**

Patienten mit der seltenen Erkrankung Mastozytose leiden unter vielen schweren Symptomen wie Anaphylaxie, Hautveränderungen, Gewichtsverlust und Blutarmut. Ursache dieser Beschwerden ist die pathologische Vermehrung von Mastzellen, die durch eine aktivierende Mutation des Gens KIT bedingt ist.

In einer bisher weltweit größten Studie an mehr als 100 Patienten mit schweren Verlaufsformen der Mastozytose konnte jetzt erstmals eine internationale Gruppe von Ärzten und Wissenschaftlern die Wirksamkeit eines neuen zielgerichteten Medikaments zeigen. Der Tyrosinkinaseinhibitor Midostaurin (PKC412) der Firma Novartis, der selektiv KIT-aktivierte Zellen hemmt, führte bei 60 Prozent der Patienten zu einer deutlichen Besserung. Es kam sowohl zu einer Rückbildung der Organveränderungen als auch zu einem Rückgang der Mastzellinfiltrate. Das mittlere Überleben war mit 28,7 Monaten deutlich länger als sonst zu erwarten. Ebenfalls zeigte sich ein klar verlängertes progressionsfreies Überleben. Als Nebenwirkungen des Medikaments traten vor allem Übelkeit und Blutbildveränderungen auf.

Unter den Teilnehmern der heute im renommierten New England Journal of Medicine vorgestellten Studie ist Prof. Dr. Karin Hartmann, die die Konzeption und Auswertung der Studie auch intensiv beratend begleitet hat. Prof. Hartmann ist seit 2015 Professorin für Immundermatologie an der Universität zu Lübeck und leitende Oberärztin der Klinik für Dermatologie, Allergologie und Venerologie des Universitätsklinikums Schleswig-Holstein, Campus Lübeck, vormals Oberärztin der Universität zu Köln. Sie betreut seit vielen Jahren eine der international größten Gruppen von Patienten mit Mastozytose im Rahmen einer spezialisierten Sprechstunde. Prof. Hartmann und ihr Team konnten bereits neue Biomarker der Mastozytose identifizieren und eine neue Klassifikation der kutanen Mastozytose entwickeln. Sie hat zudem das Kompetenznetzwerk Mastozytose e.V. gegründet, ist Board Member des European Competence Network on Mastocytosis (ECNM) und Mitglied des Exzellenzclusters Entzündungsforschung.

„Die Ergebnisse dieser Studie könnten erstmals einen echten Durchbruch in der Therapie der Mastozytose darstellen“, erläutert Prof. Hartmann. „Als nächste Schritte gilt es jetzt, weitere Studien durchzuführen mit Patienten, die an leichteren Mastozytoseformen leiden, und Kombinationsstudien, bei denen Midostaurin mit anderen Inhibitoren kombiniert wird. Als Dermatologin interessiert mich auch besonders, ob die Hautveränderungen und Mediatorsymptome unter Midostaurin zurückgehen.“

Die an der jetzt veröffentlichten Studie beteiligten Wissenschaftlerinnen und Wissenschaftler stammen außerdem von den Universitäten, Klinik- und Forschungseinrichtungen in Stanford, Albuquerque, Boston, Columbus, Philadelphia und New York (USA), Paris (Frankreich), Basel (Schweiz), Wien (Österreich), Groningen (Niederlande), München und Mannheim.

Referenz

Efficacy and Safety of Midostaurin in Advanced Systemic Mastocytosis. Jason Gotlib, Hanneke C. Kluin-Nelemans, Tracy I. George, Cem Akin, Karl Sotlar, Olivier Hermine, Farrukh T. Awan, Elizabeth Hexner, Michael J. Mauro, David W. Sternberg, Matthieu Villeneuve, Alice Huntsman Laped, Eric J. Stanek, Karin Hartmann, Hans-Peter Horny, Peter Valent and Andreas Reiter. New England Journal of Medicine 2016, published online first June 30th, 2016.



Prof. Dr. Karin Hartmann
Uni Lübeck

