

TherapieMonitor AL-Amyloidose

Patientenprofile und aktuelle Therapiealgorithmen in Deutschland

SYNOPSIS

Hintergrund

Systemische Amyloidose stelle eine lebensbedrohliche Komplikation dar, die aus monoklonalen Gammopathien, insbesondere der Leichtketten-(AL)-Amyloidose, chronisch entzündlichen Erkrankungen wie der Serum-Amyloid-A-(AA)-Amyloidose oder hereditären Störungen, am häufigsten der Transthyretin-(TTR)-Amyloidose, resultiert. In diesem Projekt konzentrieren wir uns auf die AL-Amyloidose, die die häufigste Form der systemischen Amyloidose darstellt.

Aktuelle Daten schätzen die Inzidenz neu diagnostizierter Patienten in Deutschland auf etwa 500 bis 1.200 Fälle pro Jahr. Diese Zahlen basieren auf dem G-BA-Bericht zur Bewertung von Daratumumab in Kombination mit Cyclophosphamid, Bortezomib und Dexamethason zur Behandlung der neu diagnostizierten systemischen AL-Amyloidose, veröffentlicht im Jahr 2022. Die Diagnose der AL-Amyloidose erfolgt häufig mit erheblicher Verzögerung, in der Regel mehr als ein Jahr nach dem Auftreten der ersten Symptome. Bis sich organspezifische Symptome manifestieren, liegt häufig bereits eine erhebliche Organschädigung und -dysfunktion durch weitreichende Amyloid Ablagerungen vor. Eine therapeutische Intervention ist für alle Patienten mit AL-Amyloidose mit signifikanter Organbeteiligung essenziell. Die Grundlage der Behandlung besteht in der Reduktion der Produktion amyloidogener Leichtketten durch Immunchemotherapie.

Insbesondere Daratumumab-haltige Therapien wurden kürzlich für die Erstlinienbehandlung dieser Indikation zugelassen. Diese Therapieprotokolle basieren auf Behandlungsansätzen des multiplen Myeloms und werden individuell an Faktoren wie Begleiterkrankungen, Organschäden und den allgemeinen Gesundheitszustand des Patienten angepasst. Daratumumab, ein monoklonaler Antikörper, der gegen CD38 gerichtet ist, wurde in Erstlinientherapien integriert und hat vielversprechende Ergebnisse in Bezug auf hämatologische Remissionen und die Verbesserung der Organfunktion bei Patienten mit AL-Amyloidose gezeigt. Die aktuelle Zulassung von Daratumumab in Kombination mit Cyclophosphamid, Bortezomib und Dexamethason als zugelassene Therapieoption stellt einen bedeutenden Fortschritt in der Therapie dieser Patientengruppe dar. Diese Kombinationstherapie hat verbesserte Ansprechraten und ein längeres progressionsfreies Überleben im Vergleich zu Standardbehandlungen gezeigt.

	TherapieMonitor AL-Amyloidose zielt darauf ab, die reale Wirksamkeit Daratumumab-basierter Therapien bei Patienten mit neu diagnostizierter AL-Amyloidose in Deutschland weiter zu untersuchen. Durch die Nutzung von Real-World-Daten wollen wir Einblicke in die Behandlungsergebnisse gewinnen und Managementstrategien für diese anspruchsvolle Erkrankung optimieren.
Ziele	Primäres Ziel Diese einmalige Datenerhebung im Rahmen des TherapieMonitors hat zum Ziel, Real-World-Daten zu den Behandlungsergebnissen der AL-Amyloidose und den Erfahrungen von Patienten mit der Standardtherapie in Deutschland zu erfassen. Der Fokus liegt darauf, wie neue Therapieansätze und Screening-Verfahren die Überlebensraten und die Lebensqualität der betroffenen Patienten weiter verbessern können. Durch die Analyse umfassender Daten aus unterschiedlichen Patientengruppen möchten wir Versorgungslücken identifizieren und Möglichkeiten zur Optimierung individualisierter Behandlungsstrategien aufzeigen. Sekundäres Ziel Das sekundäre Ziel besteht in der Identifikation und Quantifizierung von Patientensubgruppen, die für spezifische Therapiealgorithmen geeignet sind. Dies erfolgt auf der Grundlage individueller Patientenprofile, Behandlungsspezifikationen, Biomarker, zytogenetischer Anomalien, klinischer Daten sowie vorherigen Behandlungstherapien.
Stichprobengröße	Die angestrebte Anzahl an Patienten beträgt 100.
Zeitraum	Das Projekt wird retrospektiv für den Beobachtungszeitraum vom 01. Januar 2024 – 31. Dezember 2024 durchgeführt, mit einem Follow-up Zeitraum bis zum 31. März 2025.
Einschluss- / Ausschluss- Kriterien	<u>Einschlusskriterien</u> • Neu diagnostizierte AL-Amyloidose Patienten • ≥ 18 Jahre zum Zeitpunkt der AL-Amyloidose-Diagnose • Behandlung des Patienten im Jahr 2024 (zwischen dem 01.01.2024 und dem 31.12.2024) aufgrund der Primärdiagnose einer AL-Amyloidose in einer beliebigen Therapielinie. <u>Ausschlusskriterien:</u> • Keine Ausschlusskriterien

Methode	Datenerhebung des gesamten Therapieverlaufs: ✓ Retrospektive Datenerhebung vom Einschlusszeitpunkt bis zur Erstdiagnose ✓ Verwendung von einzigartigen, pseudoanonymisierten Standort- und Patienten IDs zur Datenerfassung, mit zufällig zugewiesenen systematischen Referenznummern zur Qualitätssicherung – vollständige Anonymisierung vor der Analyse ✓ Nutzung eines indikationsspezifischen elektronischen Dokumentationsformulars (eCRF) basierend auf der Patientenakte
Statistische Analyse	Deskriptive Analyse der Therapiealgorithmen sowie der primären und sekundären Endpunkte.