

Exagamglogene autotemcel (Exa-cel, Casgevy®) zur Behandlung von Beta-Thalassämie und schwerer Sichelzellerkrankung:

Zusammenfassung des HTA-Berichts für Patient:innen

Das Gesundheitsministerium hat im September 2024 das Austrian Institute for Health Technology Assessment (AIHTA) mit einer Analyse des Arzneimittels Exagamglogene autotemcel (Exa-cel, Casgevy®) beauftragt. Nachfolgend werden die Ergebnisse des Berichts zusammengefasst. Der gesamte Bericht ist abrufbar unter <https://eprints.aihta.at/1548/>.

Was ist Exa-cel und welche Krankheiten sollen damit behandelt werden?

Exa-cel ist eine neue Therapieform, die seit Februar 2024 in Europa zugelassen ist. Es handelt sich um eine spezielle Form der Gentherapie, bei der Blutstammzellen verändert werden. Die Behandlung wird einmalig durchgeführt. Exa-cel ist für zwei seltene Blutkrankheiten zugelassen. Die erste ist die Beta-Thalassämie, bei der Patient:innen regelmäßig Bluttransfusionen benötigen. Die zweite ist die schwere Sichelzellerkrankung, bei der Patient:innen häufig schmerzhafte Krisen durch Gefäßverschlüsse erleben.

Für welche Patient:innen ist Exa-cel zugelassen?

Die Behandlung ist für Menschen ab 12 Jahren zugelassen, die keine*n passende*n Stammzellspender*in in der Familie haben. Voraussetzung ist ein guter allgemeiner Gesundheitszustand, der durch umfassende Untersuchungen festgestellt wird. Bei der Sichelzellerkrankung müssen häufige Schmerzkrisen vorliegen, während bei der Beta-Thalassämie regelmäßige Bluttransfusionen nötig sein müssen.

Wie funktioniert die Behandlung?

Die Behandlung läuft in mehreren Schritten ab. Zunächst werden den Patient:innen eigene Blutstammzellen entnommen. Diese Zellen werden im Labor so bearbeitet, dass sie wieder gesundes Blut bilden können. Vor der Rückgabe der behandelten Zellen erhalten die Patient:innen eine intensive Chemotherapie, die die kranken Zellen im Körper zerstört und Platz für die gesunden Zellen schaffen soll. Anschließend werden die bearbeiteten Zellen über eine Infusion zurückgegeben, woraufhin sie beginnen, gesundes Blut zu bilden.

Was zeigen die bisherigen Ergebnisse?

Die bisherigen Studien zeigen eine deutliche Verbesserung der Beschwerden beim Großteil der behandelten Patient:innen. Bei der Beta-Thalassämie benötigten 32 von 35 Personen nach der Therapie keine Bluttransfusionen mehr. Bei der Sichelzellerkrankung hatten 29 von 30 Patient:innen keine schweren Schmerzkrisen mehr. Diese Verbesserungen hielten bei beiden Erkrankungen mindestens ein bis zwei Jahre an. Die

Lebensqualität der Patient:innen konnte dadurch spürbar verbessert werden. Langfristige Erfahrungen über mehr als zwei Jahre liegen bisher nicht vor.

Welche Nebenwirkungen können auftreten?

Die meisten Nebenwirkungen entstehen durch die Chemotherapie. Zu den häufigsten gehören Übelkeit, Haarausfall, Infektionen und eine vorübergehende Schwächung der Körperabwehr. Fast alle Patient:innen haben Nebenwirkungen, die meisten davon sind leicht bis mittelschwer. Die Nebenwirkungen treten hauptsächlich in den ersten sechs Monaten auf und werden mit der Zeit weniger. Da die Behandlung noch neu ist, gibt es noch keine Erfahrungen zu möglichen langfristigen Nebenwirkungen.

Wie lange dauert die Behandlung?

Der Krankenhausaufenthalt dauert etwa fünf bis sechs Wochen. Dies umfasst die Vorbereitung, die eigentliche Behandlung und die Zeit danach, in der die Ärzt:innen den Gesundheitszustand genau beobachten. Die Behandlung ist körperlich sehr belastend. Die Behandlung kann nur in bestimmten Krankenhäusern durchgeführt werden, die dafür besonders ausgestattet sind. Nach der Entlassung aus dem Krankenhaus sind über viele Jahre regelmäßige Kontrolluntersuchungen notwendig. Diese längere Nachbeobachtung ist wichtig, weil die Ärzt:innen dadurch besser verstehen können, wie sich die Behandlung langfristig auf die Gesundheit der Patient:innen auswirkt.

Wie viele Menschen sind in Österreich betroffen?

In Österreich leben etwa 60 bis 80 Menschen mit schwerer Beta-Thalassämie und etwa 130 Menschen mit schwerer Sichelzellerkrankung. Viele haben eine Migrationsbiographie und bei Ankunft in Österreich keinen guten Gesundheitszustand. Sie müssen zunächst für längere Zeit mit der derzeitigen Standardtherapie behandelt werden, damit sie so gesund sind, dass eine Exa-cel Therapie ohne zu großes Gesundheitsrisiko möglich ist. Laut Einschätzung klinischer Expert:innen könnten in den nächsten drei Jahren etwa 30 Patient:innen für die Behandlung in Frage kommen und 24 Patient:innen tatsächlich erhalten.

Was sind besondere Herausforderungen?

Es gibt nur wenige österreichische Krankenhäuser, die diese Behandlung durchführen können. Für erwachsene Patient:innen ist die Situation schwieriger als für Kinder, weil es spezielle Abteilungen für diese Krankheiten bisher nur in der Kinderheilkunde gibt. Erwachsene werden meist in Abteilungen behandelt, die sich eigentlich um Krebserkrankungen kümmern.

Was kostet die Behandlung?

Das Unternehmen hat für Österreich einen Listenpreis von 1,9 Millionen Euro pro Person festgesetzt. Dazu kommen noch die Kosten für den Krankenhausaufenthalt und die weitere Betreuung. Insgesamt wurden die Kosten pro Jahr für die in Frage kommenden Patient:innen auf etwa 16 Millionen Euro geschätzt.