

Case Report

1/2019

2	Impressum	11	Fall 5: Therapiestart mit Eliglustat bei assoziiertem MGUS und multiplem Myelom
3	Editorial	12	Fall 6: Orale Therapie statt Infusionen bei Nadelphobie
4	Cerdelga® (Eliglustat) – eine effektive orale Therapie bei Morbus Gaucher	13	Fall 7: Subjektive Verbesserung der Lebensqualität
7	Fall 1: Patient treibt wieder Sport	14	Fall 8: Komplikationslose Umstellung von Enzyersatztherapie auf Eliglustat
8	Fall 2: Klinische Stabilität nach Umstellung auf Eliglustat	15	Kontaktdaten der Autoren
9	Fall 3: Biomarker kann Adhärenz-Probleme aufdecken		
10	Fall 4: Begleitmedikation sinnvoll adaptieren		

Editorial

Der Morbus Gaucher gehört zu den vererbten lysosomalen Speicherkrankheiten. Die Stoffwechselerkrankung kann verschiedene Organe schädigen und verläuft unbehandelt chronisch progredient. Bereits seit über 25 Jahren kann sie effektiv mit intravenöser Enzym-Ersatz-Therapie (EET) behandelt werden [1, 2]. Der eigentlich einzige Nachteil: Die Patienten müssen für die Infusion alle 2 Wochen einen Arzt aufsuchen und inkl. Anfahrt meist rund einen halben Tag dafür einplanen. Das bereitet v. a. beruflich aktiven Menschen Probleme. Auch längere Urlaube und Auslandsaufenthalte sind problematisch. Vor dem Hintergrund der größeren Flexibilität haben Gaucher-Patienten deshalb die Einführung von Eliglustat (Cerdelga®) im Jahr 2015 ausdrücklich begrüßt. Dieses Medikament wird oral als Kapsel eingenommen und hat in umfangreichen Studien eine inzwischen auch langfristig mit der EET vergleichbare Wirksamkeit gezeigt [3–7].

Mittlerweile erhalten mehr als 1000 Patienten Eliglustat und viele Ärzte haben eigene praktische Erfahrungen mit der Anwendung von Eliglustat gesammelt. Das gilt einerseits für ausgewiesene Gaucher-Experten, die an überwiegend universitären Zentren Patienten mit der seltenen Krankheit betreuen. Andererseits aber auch für niedergelassene Ärzte, bei denen die Patienten vor Ort in Behandlung sind und die bisher die Infusionen heimatnah durchgeführt haben.

Dieser von dem Unternehmen Sanofi Genzyme finanziell unterstützte Sammlung von Fallberichten zeigt eine große Bandbreite von Gaucher-Patienten, die in den letzten Jahren von der EET auf Eliglustat umgestellt bzw. nach der Diagnose direkt auf das orale Medikament eingestellt wurden. (Aufgrund der Seltenheit der Erkrankung wurden Details in den Fallberichten verfremdet, um eine Identifizierung einzelner Patienten unmöglich zu machen.) Ganz überwiegend war der Wunsch der Patienten nach mehr Unabhängigkeit der treibende Grund für die Wahl von Eliglustat. Bei einzelnen stellte Eliglustat aber auch die Lösung für schlechte Venenverhältnisse oder eine Nadelphobie dar. Für welche Patienten Eliglustat infrage kommt und worauf man in der Praxis achten sollte, erfahren Sie auf den nächsten Seiten. Ich wünsche Ihnen eine interessante Lektüre.