

## Motivation und Mission

Mit unserem MDS Newsletter - hier in der Erstausgabe - wollen wir den Austausch sowie das Wissen von Klinischer Forschung, Diagnose und Therapie der Myelodysplastischen Syndrome (MDS) bündeln und fördern.

Der Newsletter richtet sich speziell an Ärzte, Forscher und Mitarbeiter/innen der Pharmaindustrie.

Wir stellen Informationen zu vielseitigen Themenbereichen wie aktuelle klinische Studien, neue Diagnosemethoden und Möglichkeiten der Therapie, Forschungsberichte und aktuelle Veranstaltungen im Bereich der MDS-Erkrankung bereit.

Unsere Redaktion ist stets an wissenschaftlichen und informativen Beiträgen zum Thema MDS interessiert.

Ihr Team des MDS Newsletters

## Intro EMSCO - Das europäische Studienkoordinationsbüro für MDS Studien

Klinische Forschung ist für den Fortschritt in der Medizin entscheidend. Dabei müssen klinische Studien hohe ethisch-rechtliche, methodische und wissenschaftliche Anforderungen erfüllen.

Die professionelle Durchführung erfordert deshalb ein großes Maß an Koordinations- und Organisationsaufwand. Insbesondere die Einbindung mehrerer

Zentren in eine klinische Studie stellt hohe Herausforderungen an die Studienbeteiligten hinsichtlich Planung, Überwachung Erfolgskontrolle, Dokumentation, und Auswertung. Pharmazeutische Firmen und Studienzentren greifen deshalb mehr und mehr auf die Unterstützung von Koordinierungszentren für klinische Studien zurück.

Speziell für die Koordinierung klinischer Studien im Bereich der MDS wurde Anfang 2013 das Studienkoordinationsbüro EMSCO (European Myelodysplastic Syndrome Coordinating Office) ins Leben gerufen. Angegliedert ist das Studienbüro an die GMIHO mbH, welche als Sponsor und Serviceplattform für klinische Studien im Bereich der Hämatologie und Onkologie tätig ist.

EMSCO unterstützt als zentrale Anlaufstelle die europäische Zusammenarbeit von Forschern, Studiengruppen und der Industrie für MDS und befördert damit Transparenz und Profitabilität für Forschung und Patienten.



Abb. 1: Screenshot Webseite www.emsco.eu

## Impressum

**Herausgeber / verantwortlich i.S. des § 5 TMG::**

GMIHO  
Gesellschaft für Medizinische Innovation – Hämatologie und Onkologie mbH  
Geschäftsführer:  
Claus-Peter Held

### **Anschrift:**

GMIHO mbH  
Alte Jakobstraße 77,  
10179 Berlin  
Telefon:  
+49.351.25933-280  
Fax:  
+49 351.25933-289  
Email: info@gmiho.de  
https://www.gmiho.de

eingetragen am AG  
Charlottenburg, Berlin  
HRB 101719 B

VAT-ID DE  
250223501

**Redaktion:**  
Sonya Faber  
Karin Bodin

**Satz/Layout:**  
Denise Lippmann

**Bildnachweise:**  
Titelbild und Abb. 3:  
© Prof. Dr. med. Uwe  
Platzbecker

Abb. 1: © GMIHO  
GmbH

Abb. 2: © Across  
Health

Abb. 4: © Veer Incorporated

## LEMON-5

### Lenalidomid

Am 17.07.2013 fand eine DMC-Sitzung zur Safety-Analyse nach 50 abgeschlossenen Patienten statt. Das Besprechungsprotokoll folgt in einem separaten Newsletter. Die Behandlung der übrigen 41 Patienten wird spätestens 31.03.2014 abgeschlossen sein, mit anschließender Safety-Auswertung durch das DMC.

Zu den Leistungen von EMSCO gehören die Entwicklung von Studiendesigns und die Dokumentation für klinische Studien, Unterstützung der Studienbeteiligten bei erforderlichen Dokumenten und Formularen, der Vertragsgestaltung und dem Vertragsabschluss und vor allem die Koordinierung der klinischen Studien und Projekte im Bereich MDS.

Durch die Bündelung der Kompetenzen und Studien über EMSCO sollen nicht nur Dokumente, Formulare und Arbeitsanleitungen (SOPs) im Bereich der MDS-Studien standardisiert werden,

## Vorankündigung 2. French-German MDS Workshop

Bereits zum zweiten Mal treffen sich die französische und die deutsche MDS-Studiengruppe, um über aktuelle diagnostische und therapeutische Strategien der MDS zu diskutieren.

In diesem Jahr wird der 2. French-German MDS Workshop vom 18. bis 19. September 2013 in Paris stattfinden. Veranstaltet wird der Workshop von der französischen Studiengruppe.

Die GMIHO mbH organisiert im Rahmen des 2. French-German MDS Workshops das Kick-Off-Meeting von EMSCO. Wir freuen uns, dass die Celgene GmbH und die Baxter Oncology GmbH Sponsoren der Veranstaltung sind.

sondern vorrangiges Ziel ist es, die Zahl der klinischen Studien in Deutschland zu steigern.

Darüberhinaus richtet EMSCO spezifische Fachveranstaltungen wie Konferenzen, Symposien, Workshops sowie strategische Entwicklungstreffen für Forscher und die Pharmaindustrie aus.

Mehr Informationen erhalten Sie unter [www.emsco.eu](http://www.emsco.eu).

Autor/in: Denise Lippmann

## Diagnose MDS – Webdienst bietet Ärztinnen und Ärzten Hilfe

Die Symptome der MDS sind in der Regel nicht spezifisch. Deshalb kann eine genaue Diagnose nur durch eine differenzierte Untersuchung des Blutes sowie des Knochenmarks gestellt werden.

Die genaue Diagnose kann dennoch schwierig sein, selbst bei Experten mit jahrelanger Erfahrung auf ihrem Gebiet. Die Diagnose kann entscheidende Auswirkung auf die anzuwendende Therapie haben. Deshalb sind eine genaue Diagnose und die Einschätzung der Prognose wichtig.

Daher wurde eine Webseite entwickelt, die Ärztinnen und Ärzten bei der sicheren Diagnostizierung der MDS-Erkrankung sowie der Prognostizierung helfen soll.

Auf der Diagnose-Webseite werden über die beratenden Diagnosetools hinaus ebenso fortlaufende Weiterbildungskurse sowie ein exklusives interaktives Trainingsprogramm für Diagnostiker angeboten, welches bei den Experten einen Wissensstand fördern sollen.



Abb. 2.: Screenshot Webseite [www.mdsdiagnosis.com](http://www.mdsdiagnosis.com)

Der Webdienst soll Spezialisten auf dem Gebiet MDS weiter zusammen führen sowie zum Austausch und der Erweiterung von entsprechendem Know-How dienen.

Mit diesem Kommunikationsmedium wird ein weiterer Meilenstein für die Erkundung des Krankheitsverlaufs von MDS erreicht und eine effiziente Zusammenarbeit gefördert.

Die Webseite ist bereits online. Interessenten sind herzlich eingeladen, sich unter [www.mdsdiagnosis.com](http://www.mdsdiagnosis.com) zu registrieren.

Autor/in: S. Faber

## Zulassung von Lenalidomid für das Niedrigrisiko-MDS mit del(5q)

Mit der Weiterentwicklung von Thalidomid wurde eine neue Substanzklasse, die „immunmodulatorischen Derivative“ (ImiDs) geschaffen, zu denen Lenalidomid gehört.

Die Substanz war jedoch von der EMA für Europa bisher nicht zugelassen worden, da einige Patientenverläufe suggerierten, dass Lenalidomid die Inzidenz der AML aus einem Niedrigrisiko MDS mit del(5q) erhöhen könnte. Analysen mehrerer Gruppen mit gepoolten del(5q) MDS Patienten (IPSS LOW/INT-1), die zumeist nur eine supportive Behandlung erhalten hatten, zeigten einen „natürlichen“ Progress in eine AML von ca. 20% nach 5 Jahren (Kelaidi et al, 2010; Mallo et al, 2011; Germing et al, 2011). Hinzu kommt eine gerade publizierte retrospektive vergleichende

Studie (Abbildung 3), die zeigen konnte, dass der AML Übergang durch Lenalidomid nicht beeinflusst wird (Kuendgen et al).

Diese neuen Ergebnisse haben erfreulicherweise vor wenigen Wochen zur Zulassung von Lenalidomid durch die EMA für das transfusionspflichtige Niedrigrisiko MDS (IPSS LOW/INT-1) mit singulärer del(5q) in Europa geführt.

Außerdem ist kürzlich eine große randomisierte Studie für Low/Int-1 MDS Patienten ohne del(5q) abgeschlossen worden, die zu einer Zulassung der Substanz führen soll. Die Ergebnisse werden allerdings erst in etwa einem Jahr erwartet.

Autor/in: U.Platzbecker

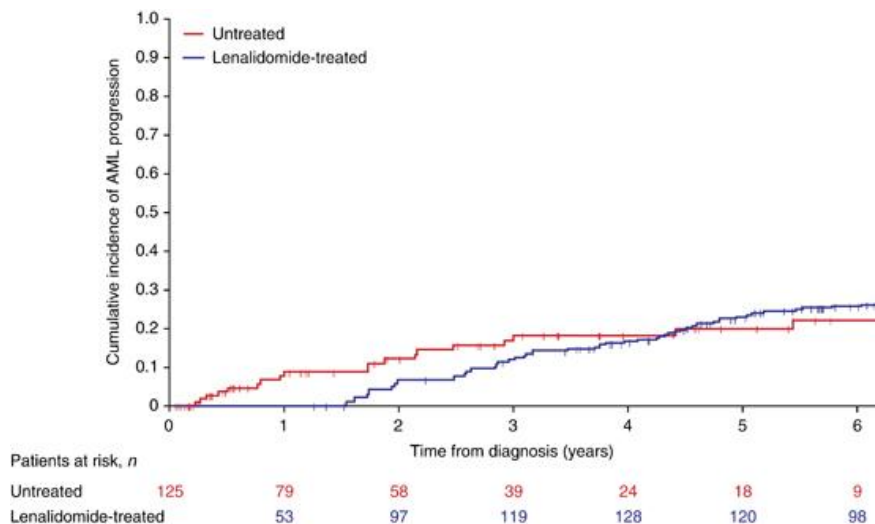


Abb. 3: Retrospektiver Vergleich der AML Progression von Patienten mit IPSS low/int-1 und del(5q) mit oder ohne Lenalidomidtherapie (Kuendgen et al)

### References

Germing,U., Lauseker,M., Hildebrandt,B., Symeonidis,A., Cermak,J., Pfeilstocker,M., Nosslinger,T., Sekeres,M.A., Maciejewski,J.P., Haase,D., Schanz,J., Seymour,J., Weide,R., Lubbert,M., Platzbecker,U., Valent,P., Gotze,K., Stauder,R., Blum,S., Kreuzer,K.A., Schlenk,R.F., Aul,C., Kundgen,A., Hasford,J., & Giagounidis,A. (2011) Survival, Prognostic Factors, and Rates of Leukemic Transformation in a Multicenter Study of 303 Untreated Patients with MDS and Del(5q). *Leukemia*, **114**, 390-391.

Kelaidi,C., Park,S., Sapena,R., Rauzy,O.B., Coiteux,V., Vey,N., Stamatooullas,A., Choufi,B., Delaunay,J., Gourin,M.P., Cheze,S., Ravoet,C., Ferrant,A., Barbe,M.E., Aljasseem,L., Raffoux,E., Itzykson,R., Ades,L., Dreyfus,F., & Fenaux,P. (2010) Long Term Outcome of Anemic Non Del 5q Lower Risk MDS Refractory to or Relapsing After Erythropoiesis Stimulating Agents (ESAs). *Blood*, **116**, 198-199.

Kuendgen,A., Lauseker,M., List,A.F., Fenaux,P., Giagounidis,A., Brandenburg,N., Backstrom,J., Glasmacher,A., Hasford,J., & Germing,U. Lenalidomide does not increase AML progression risk in RBC transfusion-dependent patients with Low- or Intermediate-1-risk MDS with del(5q): a comparative analysis. *Leukemia*, 2013

Mallo,M., Cervera,J., Schanz,J., Such,E., Garcia-Manero,G., Luno,E., Steidl,C., Espinet,B., Vallespi,T., Germing,U., Blum,S., Ohyashiki,K., Grau,J., Pfeilstocker,M., Hernandez,J.M., Noesslinger,T., Giagounidis,A., Aul,C., Calasanz,M.J., Martin,M.L., Valent,P., Collado,R., Haferlach,C., Fonatsch,C., Lubbert,M., Stauder,R., Hildebrandt,B., Krieger,O., Pedro,C., Arenillas,L., Sanz,M.A., Valencia,A., Florensa,L., Sanz,G.F., Haase,D., & Sole,F. (2011) Impact of adjunct cytogenetic abnormalities for prognostic stratification in patients with myelodysplastic syndrome and deletion 5q. *Leukemia*, **25**, 110-120.

## MDS Register – Die Anlaufstelle für Studiengruppen

Um gegen eine Krankheit erfolgreich ankämpfen zu können, ist es wichtig, diese biologisch so gut wie möglich zu charakterisieren, den Krankheitsverlauf so gut wie möglich vorherzusagen und für die Patienten die am besten geeigneten Therapien zu ermitteln.

Bereits seit 2002 gibt es auf dem Gebiet der MDS die Initiative von Klinischen Studienzentren, Forschern, Ärztinnen und Ärzten enger miteinander zu kooperieren.

Ziele der Zusammenarbeit sind unter anderem eine einheitliche Dokumentation der Krankheitsverläufe von MDS Patienten, die Durchführung einer einheitlichen zytomorphologischen und zytogenetischen Diagnostik, die gemeinsame Durchführung von klinischen Studien sowie die gegenseitige Unterstützung experimenteller, wissenschaftlicher Projekte und bei der Prognoseforschung.

Für einen gezielten wissenschaftlichen Austausch musste ein einheitliches Kommunikationsmedium geschaffen werden. So wurde das Düsseldorfer MDS Register als Model für ein multi-zentrisches, dezentrales Register genutzt. Die Webseite gibt einen Überblick der an der Kooperation beteiligten Kliniken, der entsprechenden Ansprechpartner, wissenschaftlichen Projekte sowie der diagnostischen und prognostischen Klassifikationen als auch über klinische Studien, Einsendescheine für Diagnostik, Kooperationspartner und Literatur.

Bestärkt wird dieser Austausch durch jährliche Treffen zwischen der Deutschen MDS Studiengruppe und der Groupe Française de Myelodysplasie. Aus dem Jahrestreffen resultieren neue gemeinsame Projekte auf diesem Gebiet.



In diesem Jahr findet das Jahrestreffen am 29. September 2013 an der Universitätsklinik Düsseldorf statt. Weitere Informationen über die Initiative MDS Register, das MDS-Treffen sowie weitere Fachveranstaltungen und Informationen zur Thematik MDS erhalten Sie auf [www.mds-register.de](http://www.mds-register.de).

Das MDS Register wird gefördert von



Autor/in: K. Bodin, D. Lippmann

## Veranstaltungsempfehlungen

### Dresdener Symposium für Hämatologie und Onkologie 2013

6. bis 8. September 2013 | Radisson Blu Park Hotel & Conference Center, Radebeul bei Dresden

### Jahrestreffen 2013 der Deutsch-Österreichisch-Schweizerischen MDS-Studiengruppe

25. September 2013 | Universitätsklinik Düsseldorf

### DGHO Jahrestagung 2013

18. bis 22. Oktober 2013 | Wien

### Progress in Acute Myeloid Leukemia, Myelodysplastic Syndromes and Acute Lymphoblastic Leukemia: Classification and Molecular Pathogenesis

24. bis 26. Oktober 2013 | The University of Texas MD Anderson Cancer Center

### ESH International Conference on Haematological Disorders in the Elderly

6. bis 7. November 2013 | Barcelona

### 2013 ASH Annual Meeting and Exposition

7. bis 10. Dezember 2013 | Ernest N. Morial Convention Center, New Orleans