Die Krankheitslast der Polycythaemia vera



U NOVARTIS

Inhalte



Definition
und Anzahl
betroffener
Patienten



06 Symptomlast



10 Begleiterkrankungen



12 Krankheits-komplikationen



Einschränkung
der Lebensqualität



18 Therapie



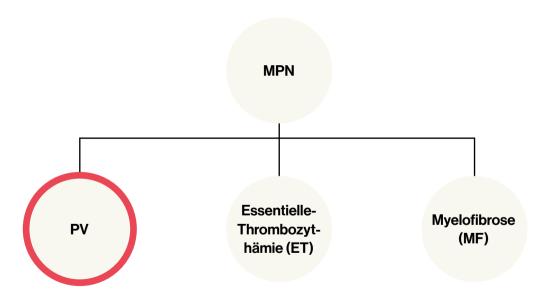
Zusammenfassung



23 Referenzen

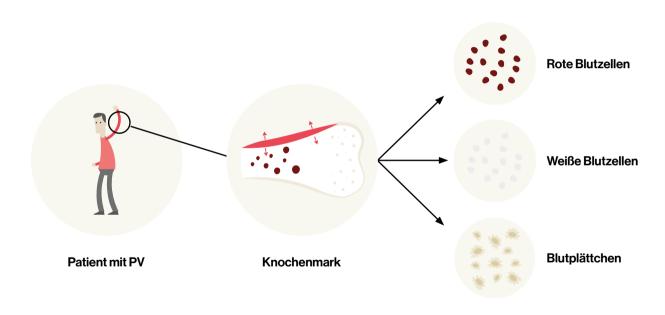
Die Polycythaemia vera (PV) ist ein Blutkrebs

Polycythaemia vera (PV) gehört zu den sogenannten **myeloproliferativen Neoplasien** (MPN), einer Gruppe von chronischen Erkrankungen des Blutes.



Patienten mit PV haben eine erhöhte Anzahl von Blutzellen

Das Knochenmark produziert zu viele rote und weiße Blutzellen und/oder Blutplättchen.



Die PV betrifft weltweit viele Patienten

PV kann **in jedem Alter** auftreten, wird aber meistens mit **etwa 60 Jahren** diagnostiziert. Weltweit werden jedes Jahr zwischen **0,01 und 2,61 Fälle pro 100.000 Personen** diagnostiziert. **Männer und Frauen** sind ähnlich häufig betroffen.

Durchschnittliches Alter bei der Diagnose:





Neue Fälle pro Jahr:

0,01 bis 2,61

pro 100.000 Personen

Die Symptome können vielfältig sein

Die **erhöhte Anzahl an roten Blutzellen und Blutplättchen** bei PV verdickt das Blut, verzögert den Transport vo Sauerstoff in das Gewebe und verursacht so die Symptome.

Patienten haben im Durchschnitt fünf Symptome, a die mehr als ein Jahr vor der Diagnose auftreten können.



Fatigue oder Müdigkeit



Juckreiz (Pruritus)



Nachtschweiß oder Schlafstörungen



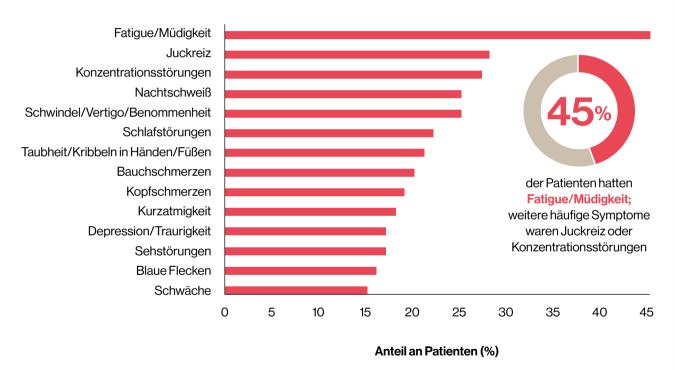
Konzentrationsschwierigkeiten oder Verwirrtheit



Bauchschmerzen

Fatigue/Müdigkeit ist das am häufigsten berichtete Symptom

Symptome im letzten Jahr:



Fatigue/Müdigkeit ist auch das schwerwiegendste Symptom der PV

Die schwerwiegendsten von Patienten berichteten Symptome waren:

Symptomintensität bewertet auf einer Skala von 0 (nicht schwerwiegend) bis 10 (schlimmste vorstellbare Intensität). Die dargestellten Symptome wurden von den Patienten mit >5.7 bewertet.







Juckreiz

Schwäche

Fatigue oder Müdigkeit







Schlafstörungen

Verstärktes Schwitzen

Verlust des sexuellen Verlangens









Unbeabsichtigter Gewichtsverlust

Kopfschmerzen

Konzentrationsprobleme

Kurzatmigkeit



Juckreiz verstärkt die Fatigue/Müdigkeit und kann zu Depressionen führen

Aquagener Pruritus ist Juckreiz, der durch Kontakt mit Wasser ausgelöst wird.

Patienten mit Pruritus zeigen eine **stärkere Ausprägung von Fatigue, Schmerz und Kurzatmigkeit.**

Pruritus ist außerdem verbunden mit mehr **Depressionen und Angstzuständen** sowie der **Vermeidung von Kontakt mit Wasser.**



Pruritus kann sich in Form von Juckreiz, Kribbeln, Stechen oder Brennen äußern.

Patienten mit PV können verschiedene Begleiterkrankungen haben

Krankheiten, die das **Herz und die Blutgefäße** betreffen, liegen bei **mehr als 50%** der Patienten vor; auch **Infektionen** sind häufig (4%–27%).

Weitere häufige Begleiterkrankungen:



71%

Hoher Blutdruck



13%

Sekundärer Krebs^a



30%

Hohe Lipidwerte im Blut



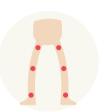
18%

Übergewicht



16%

Diabetes



12%

Gerinnungsstörungen

PV ist mit folgenden Komplikationen verbunden





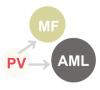
Blutgerinnsel (Thrombose)



Vergrößerte Milz (Splenomegalie)



Blutungen



Progression zu schwerwiegenderen Erkrankungen

Komplikationen können zu entkräftenden und/oder lebensbedrohlichen Ereignissen führen



Blutgerinnsel

Arteriöse und venöse Gerinnsel Schwindel "Mini"-Schlaganfall (TIA) Herzinfarkt Schlaganfall Tod



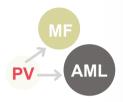
Vergrößerte Milz

Völlegefühl
Blähungen
Bauchschmerzen
Anämie
Gewebeschäden
in der Milz
Erhöhter Blutdruck in der
Portalvene



Blutungen

Betreffen die Haut und Zellen, die die Körperhöhlen/Organe auskleiden, sowie den Verdauungstrakt Blaue Flecken



Fortschreiten der Krankheit

MF AML Tod

Patienten haben eine verringerte Lebensqualität*

Im Vergleich zur Allgemeinbevölkerung sind PV-Patienten stärker beeinträchtigt:



der Patienten geben an, dass die Symptome ihre

Lebensqualität vermindern.



Allgemeiner Gesundheitszustand/Leistungsfähigkeit Lebensqualität



Physische



Psychische Leistungsfähigkeit



Fatigue/ Müdiakeit



Kurzatmigkeit



Appetitverlust



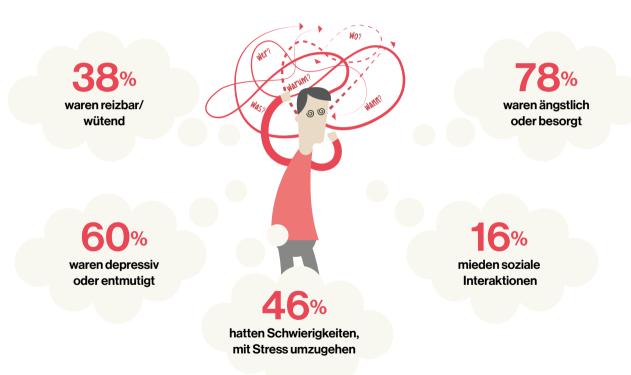
Verstopfung



Schlaflosigkeit

^{*} im Vergleich zur Allgemeinbevölkerung

Das emotionale Wohlbefinden von Patienten mit PV kann beeinträchtigt sein



% Anteil Patienten mit der entsprechenden Emotion oder Beeinträchtigung.

Patienten berichten, dass ihr Alltag durch PV eingeschränkt is

18%

Einschränkungen eines Betreuungsverhältnisses **23**%

Bedürfnis, den größten Teil des Tages im Bett zu verbringen 30%

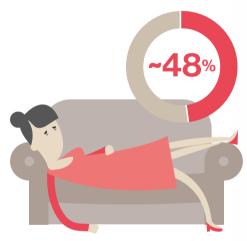
Krankheitsbedingter Abbruch von geplanten Aktivitäten

49%

Einschränkungen des Sexlebens **52**%

Einschränkung der Aktivitäten aufgrund von Schmerzen 63%

Einschränkungen des Soziallebens



Fast die Hälfte der Patienten gibt an, dass PV sie bei ihren alltäglichen Aktivitäten einschränkt.

Einige Patienten benötigen Unterstützung in Form von Pflegekräften



34% der Patienten benötigen Unterstützung im täglichen Leben.



Durchschnittlich erhalten Patienten, die Unterstützung brauchen, etwa 12 Stunden Hilfe pro Woche.



Typische Bereiche, in denen Unterstützung notwendig ist, sind **Haushalt**, **Gesellschaft** und **Transport**.

Therapieziele der PV sind: Symptomreduktion, Verlangsamung des Krankheitsfortschritts und Prävention vaskulärer Ereignisse

Die wichtigsten Therapieziele:



Ärzte

Prävention vaskulärer Ereignisse

> Symptomreduktion

Reduktion der roten Blutzellen (<45%)

Verbesserung der Lebensqualität

Langsamer Krankeitsfortschritt



Patienten

Symptomreduktion

Langsamer Krankeitsfortschritt

Prävention vaskulärer Ereignisse

WICHTIGKEIT

Verbesserung der Lebensqualität

Reduktion der roten Blutzellen (<45%) Die Therapieziele bei PV
können von Arzt und Patient
unterschiedlich gewichtet sein.
Deswegen ist es wichtig, vor Beginn
der Therapie die individuellen
Ziele gemeinsam klar
zu definieren.

Für die Behandlung der PV stehen verschiedene Therapieoptionen zur Verfügung

- Eine Standardbehandlung für alle Patienten gibt es bei der PV nicht
- Je nach Krankheitsfortschritt können verschiedene Methoden und Medikamente angewendet werden:



Aderlass (Phlebotomie)

Die erste Therapieoption, die bei der PV zum Einsatz kommt

Ziel: schnelle und einfache Senkung des Hämatokrit-Werts

> Zusätzlich kann eine Blutverdünnung mit Acetylsalicylsäure (ASS) erfolgen



∕Hydroxyurea/Interferon α

Zusätzlich zum Aderlass bei erhöhtem Risiko für Komplikationen

Verwendete Medikamente sind Hydroxyurea (HU) oder Interferon alpha (IFNα)

Ziel: Reduktion der Blutzellen



JAK-Hemmer

Können eingesetzt werden, wenn die bisher angewendeten Medikamente nicht mehr wirken oder vertragen werden

Wirken zielgerichtet direkt am Ort der Krankheitsentstehung

Ziel: Reduktion der Blutzellen und Linderung der Symptome

Alle verfügbaren Therapieoptionen gehen mit unterschiedlichen Einschränkungen einher*



Aderlass (Phlebotomie)



Hydroxyurea/Interferon α



JAK-Hemmer

Risiko für Eisenmangel

Nachlassende Wirksamkeit

Risiko für Hauttumore

Thromboserisiko

Toxizität

Risiko für Infektionen (insbesondere Herpes Zoster)

Wenig Symptomkontrolle

Wenig Symptomkontrolle

Anämie, verminderte Blutplättchen

Schmerzhaft/lästig

Schlechte Therapietreue

Gewichtszunahme

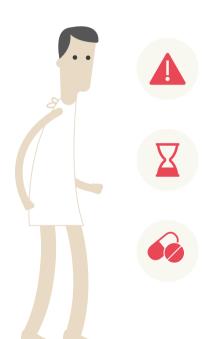
Fatigue, blaue Flecken, Kopfschmerzen, Klingeln in den Ohren, Dehydratation, Schwindel Risiko für Geschwüre an Mund und Haut, Ausschlag, Veränderung des Geschmackssinns

Schwindel

Unbequem für Patienten und Betreuer

^{*} Wie bei jeder Therapiemöglichkeit können die oben genannten Einschränkungen und Nebenwirkungen auftreten, müssen aber nicht. Das ist von Patient(in) zu Patient(in) verschieden. Bitte besprechen Sie das Thema mit Ihrem behandelnden Arzt bzw. Ihrer Ärztin.

Zusammenfassend lässt sich über die Erkrankung Polycythaemia vera sagen:



Die Patienten leiden unter einer Vielzahl belastender Symptome und dem Risiko lebensbedrohlicher Komplikationen.

Diese Probleme beeinträchtigen die Lebensqualität und die täglichen Aktivitäten.

Therapieziele sind:

- Symptomreduktion
- Prävention von vaskulären/thrombotischen Ereignissen
- Verlangsamung der Krankheitsprogression
- · Verbesserung der Lebensqualität

Referenzen

Abdulkarim K et al. (2011). Eur J Haematol. 86:148-55.

Alvarez-Larran A et al. (2012). Blood. 119(6):1363-9.

Arber DA et al. (2016). Blood. 127(20):2391-2405.

Berk PD et al. (1986). Semin Hematol. 23(2):132-43.

Bjorkholm M et al. (2011). J Clin Oncol. 29(17):2410-5.

Boccia RV et al. (2015). Blood. 126:5187.

Cerquozzi S & Tefferi A. (2015). Blood Cancer J. 5(e366).

Geyer H et al. (2016). J Clin Oncol. 34(2):151-9.

Geyer H et al. (2014). Best Practice & Res Clin Hematol. 27:107-19.

Ginzburg YZ et al. (2018). Leukemia. 32:2105-116.

Grunwald MR et al. (2018). Clin Lymphoma, Myeloma, and Leukemia.

18(12):788-95.

Harrison CN et al. (2017). Ann Hematol. 96:1653-65.

Incyte (2016). MPN Landmark Survey Report. Available at: https://www.

mpnlandmarksurvev.com/. Accessed: August 20, 2019.

Khanal N et al. (2016). Leuk Lymphoma. 57(1):129-33

Le Calloch R et al. (2018). Haematologica. 103(4):607-13.

Lelonek E et al. (2018a). Acta Derm Venereol. 98:185-90.

Lelonek E et al. (2018b). Acta Derm Venerol. 98:496-500.

Leukemia & Lymphoma Society (2015). Available at: https://www.lls.

org/sites/default/files/file_assets/FS13_PolycythemiaVera_FactSheet_

final5.1.15.pdf. Accessed: August 20, 2018.

Marchioli R et al. (2005). J Clin Oncol. 23(10):2224-2232.

Mehta J et al. (2014). Leukemia & Lymphoma. 55(10):2368-74.

Mesa R et al. (2016). BMC Cancer. 16:167.

Mesa R et al. (2005). Blood. 105(3):973-7.

Mital A et al. (2015). Thrombosis Res. 136:754-7.

NIH (2019). National Heart, Lung and Blood Institute (NHLBI). Available

at: https://www.nhlbi.nih.gov/health-topics/polycythemia-vera. Accessed:

August 2, 2019.

Parasuraman S et al. (2018). J Manag Care Spec Pharm. 24(1):47-55.

Parasuraman S et al. (2016). Exp Hematol Oncol. 5:3.

Price GL et al. (2011). Blood. 118:3140.

Scherber R et al. (2011). Blood. 118(2):401-8.

Siegel F et al. (2013). Am J Hematol. 88:665-669.

Tam CS et al. (2008). Blood. 112(5):1628-37.

Tefferi A et al. (2014). Blood. 124(15):2507-13.

Tefferi A et al. (2013). Leukemia. 27:1874-81.

Titmarsh GJ et al. (2014). Am J Hematol. 89:581-7.

WebMD (2017). What are the treatments for polycythemia vera?

Available at: https://www.webmd.com/cancer/lymphoma/polycythemia-

vera-treatments#2. Accessed: August 20, 2019.

ပြ NOVARTIS

Novartis Pharma GmbH, Roonstr. 25, 90429 Nürnberg Umfassende Informationen zu Myelofibrose und Polycythaemia vera finden Sie auf:

- · www.leben-mit-myelofibrose.de
- · www.leben-mit-pv.de
- · www.mpn-patiententage.de

Novartis Pharma - medizinischer Infoservice

Haben Sie medizinische Fragen zu Novartis-Produkten oder Ihrer Erkrankung, die mit Novartis-Produkten behandelt wird, dann kontaktieren Sie uns, den medizinischen Infoservice der Novartis Pharma, gerne unter

Telefon: 0911 - 273 12100*

Fax: **0911 - 273 12160**

E-Mail: infoservice.novartis@novartis.com

www.infoservice.novartis.de

* Mo - Fr von 08.00 bis 18.00 Uhr