

Linz, 03. Juni 2019

T +43 732 2468 3008  
M +43 664 60 2468 299  
[sebastian.luger@jku.at](mailto:sebastian.luger@jku.at)

## **JKU-Studie belegt: Neue Therapie revolutioniert Behandlung von seltener Knochenkrankung**

**Phosphatdiabetes ist eine seltene Erbkrankheit – rund 1 von 20.000 Menschen ist davon betroffen. Wer sie hat, leidet an Rachitis, Knochenweichheit und Bein-Deformationen. Ein neues Medikament wurde kürzlich zugelassen – und revolutioniert laut aktueller Studie der Johannes Kepler Universität Linz die Therapie der Krankheit. Diese wurde nun im renommierten medizinischen Journal „The Lancet“ veröffentlicht.**

Das Hormon Fibroblast Growth Factor 23 wurde ursprünglich von ForscherInnen der Indiana School of Medicine (USA) entdeckt und ist beim Phosphatdiabetes exzessiv erhöht. Das neue Medikament Burosumab blockiert dieses Hormon. Es wurde unlängst von der European Medicines Agency für die Behandlung von X-chromosomaler Hypophosphatämie (Phosphatdiabetes) zugelassen. Ob dieser Behandlungsansatz effektiver ist als die – mittlerweile 60 Jahre alte – konventionelle Therapie war allerdings unklar.

### **Umfangreiche Untersuchung**

„Neben Rachitis führt dieser Defekt auch zu Kleinwuchs, deformierten Beinen, Zahnabszessen und Knochenschmerzen“, erklärt Univ.-Prof. Dr. Wolfgang Högler von der Medizinischen Fakultät der JKU und Vorstand der Universitätsklinik für Kinder- und Jugendheilkunde am Kepler Uniklinikum. Über viele Jahre rekrutierte er mit einem Forscherteam aus 16 internationalen Zentren 61 Kinder zwischen 1 und 12 Jahren. Die Kinder wurden nach dem Zufallsprinzip zwei Therapiegruppen zugeteilt und erhielten entweder Burosumab oder die sogenannte konventionelle Therapie (bestehend aus der oralen Einnahme von Phosphat und aktiviertem Vitamin D mehrmals täglich). Der primäre Endpunkt war die Verbesserung der Rachitis auf Röntgenbildern, die von RadiologInnen bewertet wurden. Dabei war den ExpertInnen nicht bekannt, aus welcher Therapiegruppe die Bilder stammten.

### **Erfolg in weniger als einem Jahr**

Die Kinder wurden 64 Wochen lang behandelt. Schon nach 40 Behandlungswochen sahen die ForscherInnen, dass 72% der Kinder, die Burosumab-Injektionen erhielten, eine substantielle Heilung der Rachitis erreicht hatten. Im Gegenzug galt das nur für 6% der Kinder, die konventionell therapiert wurden. Burosumab führte auch zu Verbesserungen der Bein-Deformationen, des Wachstums, der zurückgelegten Distanz in einem 6-Minuten-Gehtest und in den Blutergebnissen von Phosphat und aktivem Vitamin D.

„Das ist die erste Studie, die Burosumab direkt mit der konventionellen Therapie vergleicht“, sagt Univ.-Prof. Dr. Högler. „Wir kennen jetzt die Größenordnung der Vorteile von Burosumab gegenüber der bisherigen konventionellen Therapie. Diese Information ist für Ärzte ganz wesentlich, um Behandlungsentscheidungen für ihre XLH-PatientInnen zu treffen.“

### **Weitere Studien geplant**

Die Ergebnisse wurden nun im renommierten medizinischen Journal „The Lancet“ publiziert. Als nächstes plant die ForscherInnengruppe, die längerfristigen Effekte von Burosumab zu studieren, wie auch die Auswirkungen der Behandlung im Kindesalter

auf die Körpergröße und Gesundheit als Erwachsener. *„Vor allem wollen wir wissen, ob man durch diese Behandlung auch weniger Operationen von deformierten Beinen durchführen muss“*, erklärt Högler.

**Mehr zur Studie:** [https://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736\(19\)30654-3/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736(19)30654-3/fulltext)