

Sorafenib for Advanced and Refractory Desmoid Tumors

Goede resultaten van Sorafenib in studieverband bij desmoïd patiënten

Geschreven door Contactgroep Desmoïd, jan 2018

In het toonaangevende tijdschrift *“The New England Journal of Medicine”* zijn onlangs de resultaten gepubliceerd van een jarenlang onderzoek naar het gebruik van het medicijn Sorafenib (Nexavar[®]) om de groei van Desmoid tumoren tegen te gaan. De resultaten tonen aan dat Sorafenib het risico op tumorgroei kan verkleinen en slechts beperkte bijwerkingen geeft. Goed nieuws dus!

Het starten van een wetenschappelijk onderzoek (clinical trial) bij een zeldzame ziekte zoals Desmoid Tumoren (DT) is erg moeilijk. Er zijn weinig patiënten en deze patiënten worden op verschillende plaatsen behandeld. Het is dus een uitdaging om voldoende patiënten te vinden en te selecteren voor deelname aan een specifiek onderzoek. Daarnaast is bij DT bekend dat ze soms spontaan krimpen of stabiliseren zonder aanwijsbare reden. Dit maakt interpretatie van de resultaten van een dergelijk onderzoek naar werkzaamheid van een medicijn extra lastig.

Vooralsnog bestaat er geen medicijn dat de voorkeur heeft in de behandeling van DT. Momenteel worden medicijnen zoals NSAID's, tyrosine-kinaseremmers en in bepaalde gevallen ook chemotherapie, gebruikt in de behandeling van een desmoïd tumor. Belangrijk om hierbij te vermelden is dat de keuze voor het soort middel per patiënt verschilt en dus afhankelijk is van de situatie van de individuele patiënt.

De geneesmiddelengroep “tyrosine-kinaseremmers”, bestaat uit vele soorten medicijnen waarvan enkelen ook worden gebruikt bij de behandeling van DT. Deze medicijnen werken in op specifieke processen in de tumorcel waardoor ze de groei van deze cellen remmen. De geneesmiddelen in deze groep zijn te herkennen aan hun naam. Allen eindigen namelijk op “nib” en worden daarom ook vaak “de nibjes” genoemd. Het medicijn “Sorafen**ib**” behoort ook tot deze groep en is nu ook onderzocht voor desmoïd tumoren. In vooronderzoeken werd al ontdekt dat DT bij sommige patiënten goed reageerden op een behandeling met sorafenib.

Na de eerste onderzoeken werd in maart 2014 een grote “Fase 3” studie gestart om de reactie van DT op Sorafenib te onderzoeken. Tussen maart 2014 en december 2016 werden in de Verenigde Staten in totaal 87 patiënten met een DT geselecteerd voor behandeling met sorafenib (in studieverband). Bij deze patiënten moest er sprake zijn van een groeiende/progressieve DT, een DT die veel klachten gaf zoals pijn of een inoperabele DT. In de studie kregen deze patiënten of Sorafenib, of een placebo-medicijn (zonder werkzame stoffen). De groei van de DT werd bij iedereen gevolgd middels beeldvorming, CT of MRI.

Het resultaat van het onderzoek wordt uitgedrukt in progressievrije overleving. Dit is de tijdsspanne waarin de ziekte (DT) bij een patiënt niet verergert. Een verergering van de ziekte wordt in dit geval uitgedrukt in: groei van de DT, toename van pijn, functieverlies óf overlijden. In dit onderzoek werd ook onderzocht wat de bijwerkingen van Sorafenib zijn, hoe de DT op beeldvorming verandert tijdens behandeling en wat de algemene overleving is (zijn er patiënten die tijdens behandeling overlijden). De dosis die werd toegediend was 400 mg per dag.

De resultaten tonen ziekteprogressie bij 33% van de deelnemende patiënten. Bij 39% van deze patiënten was er wel sprake van toename van klachten, maar was er geen verandering van de DT op beeldvorming te zien. De patiënten die met sorafenib werden behandeld hadden in 89% van de patiënten na 1 jaar nog geen progressie van ziekte, tegenover 46% van de patiënten die een placebo kreeg. Bij 33% van de patiënten in de Sorafenib groep werd er een volledige regressie/krimpen van de tumor waargenomen. In de placebogroep

gebeurde dit slechts bij 20%. Ook treedt de reactie sneller op in de Sorafenib groep, namelijk op 9.6 maanden na start van de therapie. Bij de placebogroep werd er pas een krimp van de tumor gezien na 13 maanden. De meest voorkomende bijwerkingen waren vermoeidheid, huiduitslag, maag-en darmklachten, infecties en hoge bloeddruk. Patiënten die Sorafenib gebruikten, hadden een groter risico op bijwerkingen. In de meeste gevallen waren er slechts lichte bijwerkingen .

Concluderend heeft deze studie aangetoond dat Sorafenib het risico op tumorgroei bij Desmoid Tumoren kan verkleinen en weinig bijwerkingen heeft.

Dit middel is op dit moment nog niet vrij verkrijgbaar voor Desmoïd patiënten. In Nederland zal komende tijd hard gewerkt worden om dit middel beschikbaar te krijgen voor alle Desmoid patiënten die dit nodig hebben.