Meilenstein in der klinischen Forschung zu bösartigen Erkrankungen des blutbildenden Systems

Die Universitätsmedizin Mannheim (UMM) ist an einem wichtigen Meilenstein in der klinischen Forschung zu bösartigen Erkrankungen des blutbildenden Systems beteiligt: Unter der Leitung von Professor Dr. Susanne Saußele und ihrem Team der III. Medizinischen Klinik wurde am 3. Juli 2025 die multizentrische Studie „AZALOX" erfolgreich initiiert. Damit ist Mannheim das erste von insgesamt neun Studienzentren in Deutschland, das Patienten in die Studie einschließen kann.

Die Studie richtet sich an Patientinnen und Patienten mit Hochrisiko-MDS (Myelodysplastisches Syndrom) oder CMML (Chronische Myelomonozytäre Leukämie), beides bösartige Erkrankungen des blutbildenden Systems. Bei Hochrisiko-MDS besteht außerdem ein erhöhtes Risiko, dass sich die Erkrankung zu einer lebensbedrohlichen akuten myeloischen Leukämie entwickelt. Ziel der Studie ist es, durch eine Kombination aus dem innovativen Prüfpräparat Amsulostat (PXS-5505) und der etablierten Standardtherapie mit 5-Azacitidin die krankhafte Veränderung des Knochenmarks zu beeinflussen, insbesondere die überschüssige Bildung von Fasern in der Stammzellnische, die die Blutneubildung erschwert.

„Unsere präklinischen Daten deuten darauf hin, dass wir mit dieser Kombinationstherapie die Produktion roter Blutkörperchen wieder anregen können", erklärt Professor Saußele. „Damit möchten wir langfristig Bluttransfusionen überflüssig machen und das Risiko einer Transformation zur akuten myeloischen Leukämie senken. Wir hoffen also, mit der Kombinationstherapie eine neue Behandlungsoption für unsere Hochrisikopatienten mit bösartigen Erkrankungen des blutbildenden Systems gefunden zu haben."

Die Studie wurde im Mai 2025 nach intensiver Vorbereitungszeit genehmigt. Bereits seit 2023 arbeitet das Studienteam an der Umsetzung, 2024 wurde eine Förderung von 1,5 Mio. Euro durch die Deutsche Krebshilfe zugesagt. Die Studienmedikation wird von der australischen Firma Syntara Ltd. gestellt.

Die präklinischen Forschungsarbeiten zur Studie wurden vollständig an der Medizinischen Fakultät Mannheim der Universität Heidelberg, im Labor der III. Medizinischen Klinik der UMM unter der Leitung von Professor Dr. Daniel Nowak, durchgeführt*. Die Studie ist damit ein Beispiel für erfolgreiche Translation „from bench to bedside" an der Universitätsmedizin Mannheim.

Die Studie startet in Mannheim direkt mit Patienten (Phase Ib), da bereits erste, sehr positive Daten zur Sicherheit des Prüfpräparats aus einer Studie in einer anderen Krankheitsentität vorliegen. Dabei wird zunächst die optimale Dosierung des Wirkstoffs Amsulostat ermittelt, der oral in Kapselform verabreicht wird. Die Behandlungsdauer beträgt sechs Monate, gefolgt von einer ebenso langen Nachbeobachtungsphase. In der anschließenden Phase II soll die Wirksamkeit der Therapie an einem größeren Patientenkollektiv weiter untersucht werden.

Die „AZALOX"-Studie wird unter der Sponsorenschaft der Universität Heidelberg und in Zusammenarbeit mit dem Koordinierungszentrum für Klinische Studien (KKS) Heidelberg durchgeführt. Neben Mannheim werden in den kommenden Wochen acht weitere Studienzentren der Deutschen MDS-Studiengruppe in Deutschland in die Studie eingebunden.

***Publikation:**
Xu Q, et al.
Inhibition of lysyl oxidases synergizes with 5-azacytidine to restore erythropoiesis in myelodysplastic and myeloid malignancies.
Nat Commun. 2023 Mar 17;14(1):1497. doi: 10.1038/s41467-023-37175-8

Pressemitteilung

16.07.2025
Quelle: Medizinische Fakultät Mannheim der Universität Heidelberg

Weitere Informationen

- Medizinische Fakultät Mannheim der Universität Heidelberg