Wie Belzutifan bei Netzhauttumoren infolge der Von-Hippel-Lindau-Erkrankung helfen kann

Neue Forschungsergebnisse geben Anlass zur Hoffnung

Neue Forschungsergebnisse des National Eye Institute bringen ermutigende Nachrichten für Menschen und Familien, die von der Von-Hippel-Lindau-Erkrankung (VHL) betroffen sind. Eine im Fachjournal *Ophthalmology Retina* veröffentlichte Studie zeigt, dass das Medikament Welireg (Wirkstoff: Belzutifan) VHL-bedingte Tumoren am Auge, sogenannte retinale Hämangioblastome, deutlich verkleinern kann.

Was sind retinale Tumoren bei VHL?

Retinale Hämangioblastome sind kleine, knäuelartig angeordnete Ansammlungen von Blutgefäßen, die auf der Netzhaut wachsen. Die Netzhaut ist das lichtempfindliche Gewebe im hinteren Bereich des Auges. Bis zu 70 Prozent aller Menschen mit einer VHL-Erkrankung entwickeln solche Tumoren am Auge. Unbehandelt können diese Tumoren Flüssigkeit absondern, Blutungen verursachen und zu Schwellungen oder Vernarbungen führen. Mit der Zeit kann die austretende Flüssigkeit Zug auf die Netzhaut ausüben und das Sehvermögen beeinträchtigen. Zu den herkömmlichen Behandlungsmöglichkeiten gehören Laserbehandlungen und die Kryotherapie (Kältebehandlung). Diese Verfahren eignen sich besonders für Tumoren, die sich am äußeren Rand der Netzhaut befinden. Tumoren in unmittelbarer Nähe des Sehnervs sind dagegen schwieriger zu behandeln. Eine Laserbehandlung kann dort das umliegende Gewebe schädigen und im schlimmsten Fall zu einem dauerhaften Verlust des Sehvermögens führen.

Was hat die Studie herausgefunden?

Ärzte des National Eye Institute untersuchten 33 Menschen mit VHL-Erkrankung, bei denen aktive Augentumoren festgestellt worden waren und die mit Belzutifan behandelt wurden.

Insgesamt wurden 85 Tumoren in 42 Augen beobachtet. Die Ergebnisse zeigten deutliche Verbesserungen:

- **Deutliche Verkleinerung der Tumoren:** Nach einem Jahr Behandlung war die Größe der Tumoren durchschnittlich um 75 Prozent zurückgegangen. Nach zwei Jahren betrug die durchschnittliche Verkleinerung nahezu 80 Prozent.
- **Vollständiges Verschwinden einzelner Tumoren:** Knapp 23 Prozent der untersuchten Tumoren bildeten sich vollständig zurück. Weitere 45 Prozent entwickelten sich zu inaktiven, harmlosen Narben. Besonders kleine Tumoren verschwanden häufiger vollständig.
- **Rückgang von Flüssigkeitsaustritt und Schwellungen:** Der Flüssigkeitsaustritt aus den Tumoren ging bis zum zweiten Behandlungsjahr nahezu auf null zurück. Auch die geschwollenen und veränderten Blutgefäße beruhigten sich.

- **Behandlung schwieriger Tumorpositionen:** Selbst Tumoren in unmittelbarer Nähe des Sehnervs konnten verkleinert werden, ohne das zentrale Sehvermögen zu schädigen.
- **Keine neuen Tumoren während der Behandlung:** Bei keinem der Patienten wurde während der aktiven Einnahme von Belzutifan ein neuer Augentumor festgestellt.

Warum die Behandlung nicht eigenständig abgebrochen werden sollte

Ein wichtiges Ergebnis der Studie ist, dass Belzutifan die Tumoren kontrollieren kann, die Erkrankung jedoch nicht heilt.

Acht Patienten beendeten die Einnahme des Medikaments aus unterschiedlichen Gründen. Bei mehr als 70 Prozent ihrer Augen begannen die Tumoren anschließend wieder zu wachsen, Flüssigkeit abzusondern oder erneut aktiv zu werden. Bei einigen Patienten entstanden nach dem Absetzen sogar neue Augentumoren.

Diese Beobachtungen deuten darauf hin, dass eine langfristige, möglicherweise kontinuierliche Behandlung mit Belzutifan erforderlich sein könnte, um die Tumoren unter Kontrolle zu halten und ein erneutes Wachstum zu verhindern. Weitere Untersuchungen sind allerdings notwendig.

Was sollte bei der Behandlung berücksichtigt werden?

Trotz der vielversprechenden Ergebnisse handelt es sich bei Belzutifan um ein Medikament mit relevanten Nebenwirkungen.

Zu den häufigsten Nebenwirkungen gehören:

- Blutarmut (Anämie) aufgrund einer verminderten Anzahl roter Blutkörperchen
- Müdigkeit und Erschöpfung
- Kopfschmerzen
- Schwindel

Darüber hinaus kann Belzutifan einem ungeborenen Kind schaden und darf deshalb während einer Schwangerschaft nicht eingenommen werden.

Zum Zeitpunkt der Veröffentlichung des Originalartikels ist Belzutifan von der US-amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA für bestimmte VHL-bedingte Tumoren der Nieren, des Gehirns, des Rückenmarks und der Bauchspeicheldrüse zugelassen. Eine eigenständige Zulassung zur Behandlung von Netzhauttumoren besteht zu diesem Zeitpunkt noch nicht. Auch die hohen Behandlungskosten können ein Hindernis darstellen. Insbesondere wenn das Medikament ausschließlich zur Behandlung von Augentumoren eingesetzt werden soll, kann die Kostenübernahme durch Versicherungen schwierig sein.

Die neuen Studienergebnisse könnten dazu beitragen, dass eine entsprechende Zulassung künftig geprüft wird.

Ausblick: Neue Hoffnung für Menschen mit VHL

Für Menschen mit Von-Hippel-Lindau-Erkrankung und ihre Familien stellen die Ergebnisse einen wichtigen Fortschritt dar. Die Studie zeigt, dass eine medikamentöse Behandlung dazu beitragen kann, Augentumoren deutlich zu verkleinern, das Fortschreiten schwieriger Tumoren zu kontrollieren und die Entstehung neuer Tumoren während der Behandlung zu verhindern. Besonders interessant ist diese Möglichkeit für Patienten, deren Tumoren sich in der Nähe des Sehnervs befinden und deshalb nur schwer mit herkömmlichen Laserbehandlungen behandelt werden können. Betroffene sollten gemeinsam mit ihrem Netzhautspezialisten und dem behandelnden VHL-Team besprechen, ob eine systemische Behandlung mit Belzutifan im Rahmen ihres individuellen Therapiekonzepts infrage kommt.

Autor und Quellenangabe

Autor der deutschen Übertragung: ChatGPT (OpenAI)

Originalquelle: VHL Alliance – *How Belzutifan Helps VHL Retinal Tumors*

Veröffentlichungsdatum des Originalartikels: 29. Oktober 2026

Website: https://vhl.org/how-belzutifan-helps-vhl-retinal-tumors/

Wissenschaftliche Grundlage: Studie des National Eye Institute, veröffentlicht im Fachjournal *Ophthalmology Retina*.