NEUE STUDIE · SEPT. 2026

Lebensqualität bei Kindern mit XLH unter Burosumab

Real-World-Daten aus einer deutsch-schweizerischen Studie mit 64 Kindern und Jugendlichen

WISCHEN

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

HINTERGRUND

Was ist XLH?

1 **X-chromosomale Hypophosphatämie**

Seltene Erkrankung: Zu viel FGF23 lässt die Nieren Phosphat verlieren.

2 **Folgen**

Unter anderem: Niedrige Phosphatwerte im Blut, Rachitis, Knochenverformungen und vermindertes Wachstum im Kindesalter.

3 **Burosumab**

Ein Antikörper gegen FGF23, Alternativtherapie zur täglichen Einnahme von aktivem Vitamin D und Phosphat (D/Pi), das bei Kindern alle 2 Wochen gespritzt wird.

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

DIE FRAGE

Wie bewerten Kinder unter Burosumab ihre eigene Lebensqualität?

...und welche klinischen Faktoren hängen mit der gesundheitsbezogenen Lebensqualität (HRQoL) zusammen?

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

METHODIK

Studiendesign

1 **Register**

Querschnittsanalyse eines prospektiven, binationalen, multizentrischen Beobachtungsregisters.

2 **40 Zentren**

In Deutschland und der Schweiz.

3 **KIDSSCREEN-52**

Validierter Lebensqualitäts-Fragebogen – Selbstbericht des Kindes und Fremdbericht der Eltern.

4 **Interviews**

Qualitative Telefoninterviews mit 21 Teilnehmenden / Bezugspersonen.

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

KOHORTE

Wer hat teilgenommen?

64
Kinder mit XLH

56 %
Weiblich
(36 von 64)

8–18
Jahre alt

13,1
Jahre Median-Alter
(IQR 10,4–14,8)

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

THERAPIE

Burosumab in der Praxis der Studienteilnehmer*innen

0,63
mg/kg alle 2 Wochen
Median-Dosis (0,2–1,9)

2,8
Jahre Therapiedauer, mit
Burosumab Median (IQR 1,4–3,8)

54,7 %
Vorbehandlung mit Phosphat
und Vitamin D (D/Pi)

7–14
Tage nach Injektion:
Blutabnahme

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

ERGEBNIS #1

Lebensqualität vergleichbar mit Gleichaltrigen

Die selbstberichtete Lebensqualität der Kinder war vergleichbar mit (oder sogar höher als) den Durchschnittswerten der gesunden Bevölkerung in Deutschland.

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

SICHT DER ELTERN

Elternberichte vs. Referenzwerte

Körperliches Wohlbefinden
niedriger
p < 0,01*

Autonomie
niedriger
p < 0,05

Finanzielle Ressourcen
höher
p < 0,01

* Der p-Wert zeigt, wie wahrscheinlich es ist, dass ein Ergebnis nur durch Zufall entstanden ist.
p < 0,05 heißt: Die Wahrscheinlichkeit für Zufall liegt unter 5 %. Das Ergebnis gilt als „statistisch signifikant“, also wahrscheinlich echt.
p < 0,01 heißt: unter 1 %. Das ist noch sicherer.
p < 0,001 heißt: unter 0,1 %. Das ist sehr sicher.
p = 0,052 oder 0,058 liegt knapp über 5 %. Das ist nicht signifikant, sondern nur ein Trend

Alle anderen Dimensionen waren mit den Durchschnittswerten der gesunden Bevölkerung in Deutschland vergleichbar.

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

KIND VS. ELTERN

Eltern bewerten schlechter als ihre Kinder

↓	Soziale Akzeptanz (Mobbing)	p < 0,01
↓	Körperliches Wohlbefinden	p = 0,052
↓	Stimmung & Emotionen	p = 0,058

„Ich glaube nicht, dass sie/er selbst das als so große Sache sieht.“

ELTERNTEIL, QUALITATIVES INTERVIEW

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

LABORWERTE

Patienten*innen der Studie, im Vergleich zu gesunden Kindern

Serumphosphat p < 0,01



Alkalische Phosphatase (AP) p < 0,001



Parathormon (iPTh) p < 0,001



-2,5 0 = gesunde Kinder (z-Score) +2,5

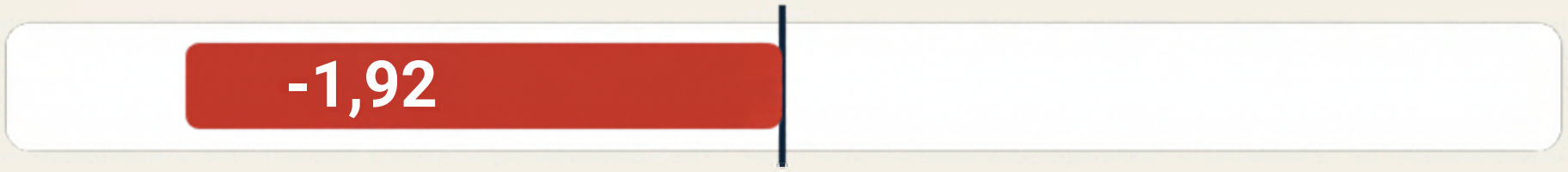
Calcium und Vitamin D im Normbereich • 14 % (9/64) Vitamin-D-Mangel/-Insuffizienz

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

WACHSTUM

Größe, Gewicht & BMI

Körpergröße p < 0,05



Gewicht p < 0,05



BMI p < 0,05



13 % übergewichtig • 17 % adipös

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

ERGEBNIS #2

Laut Studie ist die Dosis ein maßgeblicher Einflussfaktor

Höhere Burosumab-Dosis → bessere Lebensqualität (Spearman r*)

Körperliches Wohlbefinden KIND r = 0,525 p < 0,01

Psychisches Wohlbefinden KIND r = 0,432 p < 0,001

Gesamtwert KIND r = 0,352 p < 0,05

Körperliches Wohlbefinden ELTERN r = 0,428 p < 0,01

*Rangfolge

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

ERGEBNIS #3

Die Schwelle von ≈ 0,6 mg/kg

Eine Dosis von 0,6 mg/kg Körpergewicht schien in dieser Studie mit einem guten körperlichen Wohlbefinden zu korrelieren.

KINDERBERICHT

0,5993

Cut-off mg/kg

AUC	**0,777**
95 %-KI	**0,611–0,942**
Sensitivität	**75,0 %**
Spezifität	**70,0 %**

ELTERNBERICHT

0,6253

Cut-off mg/kg

AUC	**0,744**
95 %-KI	**0,606–0,882**
Sensitivität	**66,8 %**
Spezifität	**69,7 %**

Etwas unter der empfohlenen Startdosis von 0,8 mg/kg (Fachinformation).

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

WEITERE ZUSAMMENHÄNGE

Was spielte noch eine Rolle?

1. **Vorherige Medikation mit oraler Einnahme von Vitamin D und Phosphat (D/Pi)**
   Längere Vorbehandlung → höhere Autonomie (Kind r = 0,410; Eltern r = 0,363) und bessere Eltern-Beziehung (r = 0,514).

2. **Alter**
   Höheres Alter → geringeres körperliches Wohlbefinden (r = -0,323), aber besserer Wert bei sozialer Akzeptanz (r = 0,370).

3. **BMI**
   Höherer BMI-z-Score → schlechterer Wert bei sozialer Akzeptanz (r = -0,365).

4. **AP**
   Höhere alkalische Phosphatase → geringeres psychisches Wohlbefinden (r = -0,342).

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

INTERVIEWS

Was Familien berichten

1 **Wahrnehmungslücke**
Eltern empfinden körperliche Einschränkungen belastender als die Kinder selbst.

2 **Weniger Therapielast**
Der Wechsel von täglichen Tabletten zu Spritzen alle zwei Wochen stärkte die Autonomie.

3 **Überbehütung?**
Niedrigere Autonomie-Werte der Eltern könnten auf überbehütendes Verhalten hinweisen.

4 **Pubertät**
Eltern unterschätzten das emotionale Wohlbefinden der Kinder und Jugendlichen.

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

LIMITATIONEN

Mit Vorsicht lesen

1. **Kleine Kohorte**
   n = 64, unvollständige Fragebogen-Paare.

2. **Kaum Daten vor Therapie**
   Nur bei 8 Patient*innen wurde die Lebensqualität vor Burosumab-Therapie erhoben.

3. **Überdurchschnittliches Einkommen**
   Finanzielle Ressourcen der Familien könnten Ergebnisse verzerren.

4. **Querschnittsdesign**
   Keine kausalen Schlüsse; Placebo-/Erwartungseffekte möglich.

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

FAZIT

Das Wichtigste

- Die Lebensqualität Burosumab-behandelter Kinder mit XLH scheint mit der Allgemeinbevölkerung vergleichbar.
- Die Burosumab-Dosis schien mit der Lebensqualität zusammen zu hängen. Nicht die Laborwerte.
- Der Richtwert von 0,6 mg/kg könnte als Orientierung dienen, um die Therapie für alle Patient*innen individuell zu überwachen und anzupassen.
- Lebensqualität sollte routinemäßig erfasst und in die Behandlungsentscheidung, neben klinischen Aspekten und Laborwerten einbezogen werden.

Quelle: https://link.springer.com/article/10.1007/s00223-026-01602-x

QUELLE

Zur vollständigen Studie

Böckmann, I., Klein, M., Mutze, H., Rehberg, M., Spartà, G., Evers, K., Schlingmann, K. P., Kemper, M. J., Richter-Unruh, A., Schmidt, D., Hiort, O., Grohmann-Held, K., Schröder, C., Derichs, U., Freiberg, C., Weitz, M., Dunstheimer, D., Schmid, E., John-Kroegel, U., … Haffner, D. (2026).

Health-related quality of life in children with X-linked hypophosphatemia treated with burosumab: Real-world data from a German-Swiss study. Calcified Tissue International, 117, Article 140.

https://doi.org/10.1007/s00223-026-01602-x

Die Zusammenfassung dient nur zur Information und wurde nicht durch medizinisches Fachpersonal lektoriert.
Diese Informationen stellen keine medizinische Beratung dar. Bitte sprich mit Deinem Behandlungsteam.