

Perspectives de l'EHA et de l'ISTH 2024 : Comment optimiser les soins pour les patients atteints de TPI chronique ?



Dr Vickie McDonald
Guy's & St Thomas' NHS
Foundation Trust,
Londres, Royaume-Uni



Prof. James Bussel
Weill Cornell Medicine,
New York, NY, États-Unis



Prof. Waleed Ghanima
Hôpital Østfold,
Oslo, Norvège

Enregistré à la suite du Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne, 13–16 juin,
et ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande, 22–26 juin

Clause de non-responsabilité

- *Les produits médicaux non approuvés ou les utilisations non approuvées de produits médicaux approuvés peuvent être discutés par la faculté ; ces situations peuvent refléter le statut d'approbation en vigueur dans une ou plusieurs juridictions*
- *Les professeurs présentateurs ont été conseillés par USF Health et touchIME de s'assurer qu'ils divulguent toute référence à une utilisation non répertoriée ou non approuvée*
- *Aucune approbation par USF Health ou touchIME de produits non approuvés ou d'utilisations non approuvées n'est faite ou implicite par la mention de ces produits ou utilisations dans les activités d'USF Health et touchIME*
- *USF Health et touchIME déclinent toute responsabilité pour toute erreur ou omission*

Quel est l'impact de la TPI sur le patient et sa qualité de vie ?

Dr Vickie McDonald
Guy's & St Thomas' NHS
Foundation Trust,
Londres, Royaume-Uni



Enregistré à la suite du Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne, 13–16 juin,
et ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande, 22–26 juin

PB0687 : Fatigue chez les patients adultes atteints de TPI primaire

Gebhart J, et al.

Résultats concernant la fatigue (scores moyens FACIT-F)

Moyenne des scores FACIT-F totaux (des scores plus élevés correspondent à une fatigue moindre)

TPI (n=73)

TPI chronique/
persistante
(n=46)



p=0,002



p=0,031



p=0,019

TPI nouvellement
diagnostiquée
(n=27)



Groupe normal*
(n=2 426)

Valeurs p par rapport au groupe
de référence

Corrélation entre la fatigue et certains paramètres cliniques chez les adultes atteints de TPI



Numération
plaquettaire



Taux de
vitamine D



Taux de
ferritine

La ferritine était le seul prédicteur significatif de la fatigue par analyse de régression (p=0,034)

Les patients atteints de TPI, y compris ceux souffrant de TPI chronique, ont ressenti une fatigue beaucoup plus importante que le groupe témoin. Les taux de ferritine permettent de prédire la fatigue.

*Groupe d'échantillonnage de la norme allemande à partir de 2018.

FACIT-F, Functional Assessment of Chronic Illness Therapy-Fatigue ; TPI, thrombocytopénie immunitaire.

Gebhart A, et al. Présenté à : ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande. 22–26 juin 2024. Présentation par affiche PB0687.

P1630 : Incidence, description et prise en charge des thromboses veineuses chez les patients adultes atteints de TPI. Résultats du registre prospectif multicentrique Carmen-France, Therme F, et al.

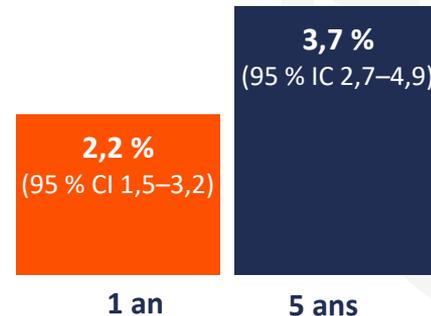
Données démographiques sur les patients et incidence de la TV

	Groupe TV (n=53)	Groupe sans TV (n=1 251)
Âge médian, années (Q1–3)	70 (49–81)	62 (39–77)
Antécédents de thrombose, %	24,5	6,3
TPI secondaire, %	26,4	14,5
Plaquettes au moment du diagnostic, x 10 ⁹ /l (Q1–3)	8 (4–24)	18 (6–46,5)
Traitements prothrombotiques pendant le FU		
Corticostéroïdes, en %	94,3	81
IVIg, %	49,1	41
≥1 TPO-RA, %	62,3	28,6



La plupart des accidents vasculaires cérébraux sont survenus dans les **3 mois** suivant le diagnostic de TPI

Taux d'incidence cumulée de la TV



Une proportion plus élevée de patients ayant subi une TV avaient des antécédents de thrombose, une TPI secondaire, une maladie plus sévère et étaient traités avec des TPO-RA par rapport aux patients n'ayant pas subi de TV.

P1630 : Incidence, description et prise en charge des thromboses veineuses chez les patients adultes atteints de TPI. Résultats du registre prospectif multicentrique Carmen-France, Therme F, et al.

Description des événements et des pratiques de gestion de la TV



Les patients ont présenté des événements atypiques de TV



Événements cérébraux de type TV, tous chez des patients traités par TPO-RA



Événements vasculaires cérébraux chez les patients présentant une numération plaquettaire >250 x 10⁹/l

Événements hémorragiques et thrombotiques chez les patients présentant une TV après avoir reçu un anticoagulant pendant ≤3 ou ≥6 mois (n=31)

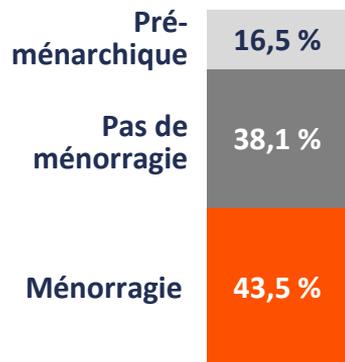
	+ TPO-RA pendant l'anticoagulation		- TPO-RA pendant l'anticoagulation	
	Thrombose	Hémorragie	Thrombose	Hémorragie
≤ 3 mo	1	0	0	0
≥ 6 mo	0	0	0	0

Les patients traités avec des TPO-RA présentaient un risque accru de TV sur un site atypique. L'association TPO-RA + anticoagulation était une stratégie de gestion efficace et tolérable.

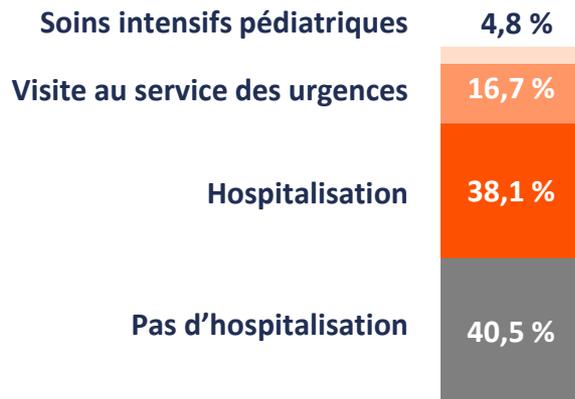
PB0694 : La ménorragie, ou saignements menstruels abondants, est un problème courant et sous-estimé chez les adolescentes à risque atteintes de TPI et de troubles plaquettaires héréditaires, **Doshi BS, et al.**

Fréquence et gravité de l'HMB (TPI, n=298 ; IPD, n=122)

Incidence de ménorragie chez les patientes à risque atteintes de TPI (n=85)



Prise en charge hospitalière de la ménorragie chez les patientes atteintes de TPI (n=42 visites)



Traitement de la ménorragie chez les patientes atteintes de TPI (n=37) :

- Traitement à long terme orienté vers la TPI (n=24)
- Thérapie hormonale (n=16)



des patientes atteintes de TPI et de ménorragie présentaient une carence en fer (n=37)



des patientes atteintes de TPI ou de PI ont été traitées pour une anémie ferriprive (n=42)

La ménorragie est fréquente chez les femmes atteintes de TPI et entraîne des taux d'hospitalisation élevés.
La carence en fer est fréquente chez les femmes souffrant de TPI et de ménorragie.

Quelles sont les données les plus récentes sur lesquelles repose l'utilisation des traitements actuels de la TPI chronique ?

Dr Vickie McDonald
Guy's & St Thomas' NHS
Foundation Trust,
Londres, Royaume-Uni



Enregistré à la suite du Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne, 13–16 juin,
et ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande, 22–26 juin

P1628 : Réponse prolongée après l'arrêt du TPO-RA dans la TPI primaire : Suivi à long terme de l'étude STOPAGO, une étude prospective multicentrique, Cottu A, et al.

Caractéristiques de base (N=48)

TPI chronique au moment de l'instauration du TPO-RA

63 %

Durée médiane de la TPI à l'arrêt du TPO-RA

6 ans

>2 lignes de traitement

47 %

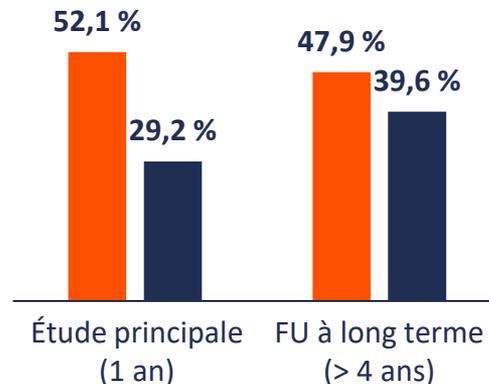
TPO-RA le plus courant

Eltrombopag
83 %

Résultats cliniques (FU prolongée)

Réponse clinique après l'arrêt de la TPO-RA

■ SROT* ■ SCROT†



Durée médiane de la FU 5 ans (4–6.3)

Deux patients ont rechuté[‡] >1 an après l'arrêt du TPO-RA

La TPI chronique à l'initiation du TPO-RA était un facteur de risque de rechute[‡] OR 5,4 (95 % CI 1,27–22,62) ; p=0,022

~Environ 50 % des patients ont conservé une SROT pendant plus de 4 ans après l'arrêt du TPO-RA. Seuls deux cas de rechute ont été signalés au cours du FU à long terme, confirmant que la plupart des cas intervenaient dans les premières semaines suivant l'arrêt du traitement.

*SROT : numération plaquettaire $\geq 30 \times 10^9/l$ et absence de saignement. †SCROT : numération plaquettaire $\geq 100 \times 10^9/l$ et absence de saignement sans médicaments spécifiques à la TPI.

‡La rechute est définie comme un événement hémorragique et/ou une numération plaquettaire $< 30 \times 10^9/l$. FU, suivi ; IC, intervalle de confiance ; OR, ratio de probabilité ; SCROT, réponse complète durable hors traitement ; SROT, réponse durable hors traitement ; TPI, thrombocytopénie immunitaire ; TPO-RA, agoniste du récepteur de la thrombopoïétine.

Cottu A, et al. Présenté à : Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne. 13–16 juin 2024. Présentation du poster P1628.

P2232 : Expérience italienne réelle avec le fostamatinib chez des patients adultes atteints de TPI chronique, Zaja F, et al.

Caractéristiques de base (N=91)

Avaient reçu antérieurement >1 TPO-RA 57 %

Splénectomie antérieure 23 %

≥3 lignes de traitement antérieur 83 %

Temps médian entre le diagnostic de TPI et le traitement par fostamatinib 7 ans

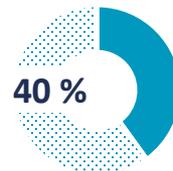
Résultats cliniques



Réponse globale dans les 3 mois



Réponse complète*



Toujours en cours de traitement à 6 mois



↑ dose de fostamatinib

59 effets secondaires rapportés chez 38 patients (31 étaient liés au traitement) ; les plus fréquents : diarrhée (n=13), hypertension (n=8), transaminite (n=8), neutropénie (n=4)

Arrêt du traitement en raison d'effets secondaires : neutropénie, transaminite, hypertension (tous n=1), diarrhée (n=2)

TVP : n=1 (grade 3) 5 mois après l'arrêt du fostamatinib

40 % des patients atteints de TPI chronique réfractaire ont reçu du fostamatinib pendant 6 mois, ce qui suggère que le fostamatinib est une option thérapeutique efficace dans la pratique réelle avec un profil de sécurité acceptable.

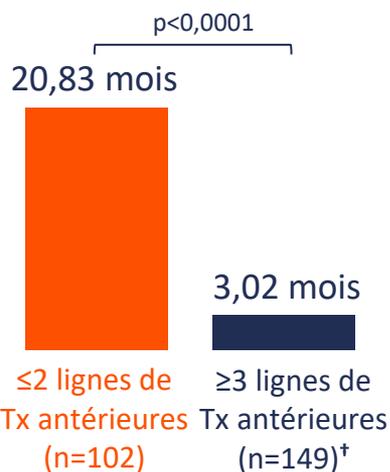
*Selon les critères du groupe de travail international.

TPI, thrombocytopénie immunitaire ; TPO-RA, agoniste du récepteur de la thrombopoïétine ; TVP, thrombose veineuse profonde. Zaja F, et al. Présenté à : Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne. 13–16 juin 2024. Présentation par affiche P2232.

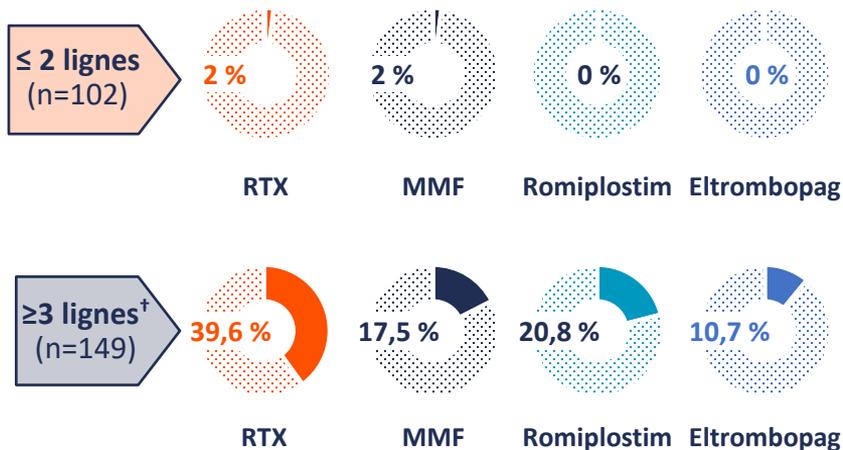
P1626 : Le résultat de la splénectomie dans la TPI réfractaire est médiocre : une analyse des données réelles du registre britannique de la TPI, Chen F, et al.

Résultats associés à la splénectomie chez les patients atteints de TPI réfractaire, d'après le registre britannique de la TPI après l'an 2000

Temps médian jusqu'au premier traitement après la splénectomie*



Traitement avant la splénectomie



Le temps jusqu'à l'échec de la splénectomie* était nettement plus court chez les patients >65 ans vs les patients ≤65 ans (p=0,001)

La probabilité que la splénectomie induise une rémission durable chez les patients atteints de TPI réfractaire est nettement plus faible que chez les patients non réfractaires.

*Le délai médian avant le premier traitement après la splénectomie était un marqueur de substitution de l'échec de la splénectomie. [†]TPI réfractaire définie comme ayant reçu ≥3 lignes de traitement.

MMF, mycophénolate mofétil ; RTX, rituximab ; TPI, thrombocytopénie immunitaire ; Tx, traitement. Chen F, et al. Présenté à : Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne. 13–16 juin 2024. Présentation du poster P1626.

Quelles sont les données disponibles sur les nouveaux traitements chroniques de la TPI et que nous apprennent-elles ?

Dr Vickie McDonald
Guy's & St Thomas' NHS
Foundation Trust,
Londres, Royaume-Uni



Enregistré à la suite du Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne, 13–16 juin,
et ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande, 22–26 juin

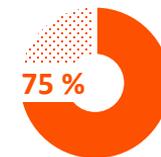
S316 : Efficacité et innocuité de l'inhibiteur de la SYK sovleplenib (HMPL-523) chez les patients adultes atteints de TPI primaire chronique en Chine (ESLIM-01) : Étude de phase 3 randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo **Yang R, et al.**

Démographie et caractéristiques de base*

Randomisé 2:1	N=188	
	Sovleplenib 300 mg QD (n=126)	Placebo 300 mg QD (n=62)
Âge médian, années (plage)	43,5 (18–72)	42,0 (18–69)
Temps médian depuis la première réduction de la numération plaquettaire jusqu'à la randomisation, années (plage) ≥3 ans, %	7,6 (1,1–36,1) 75	7,8 (1,1–41,2) 82
Numération plaquettaire à la ligne de base <15 x 10 ⁹ /l, %	60	60
Splénectomie antérieure, %	4	5
Traitement anti-TPI concomitant à la ligne de base, %	33	32

Déséquilibre avec certaines caractéristiques à la ligne de base

Sovleplenib



Antécédents de TPO/TPO-RA

Placebo



ECOG PS de 1



Score de saignement de l'OMS de 1



*Intention de traiter définie. Inscription : Sept. 2021–Déc. 2022 ; date limite d'envoi des données : 14 juillet 2023.

BL, ligne de base ; ECOG PS, Eastern Cooperative Oncology Group Performance Status ; OMS, Organisation mondiale de la santé ; QD, une fois par jour ; TPI, thrombocytopénie immunitaire ; TPO, thrombopoïétine ; TPO-RA, agoniste des récepteurs de la TPO.

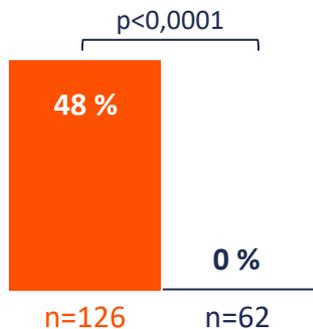
Yang R, et al. Présenté à : Congrès hybride EHA 2024, Madrid, Espagne. 13–16 juin 2024. Présentation orale S316.

S316 : Efficacité et innocuité de l'inhibiteur de la SYK sovleplenib (HMPL-523) chez les patients adultes atteints de TPI primaire chronique en Chine (ESLIM-01) : Étude de phase 3 randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo **Yang R, et al.**

Critère d'évaluation principal

Critères d'évaluation secondaires liés aux plaquettes

DRR
(évalué de 14 à 24 semaines)*

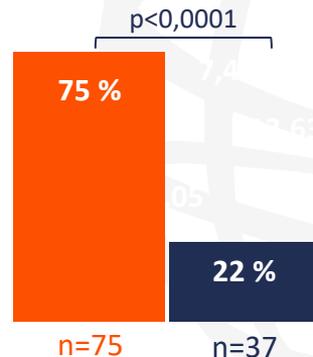
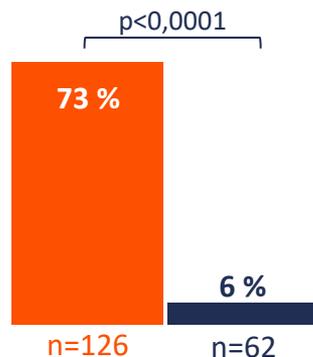
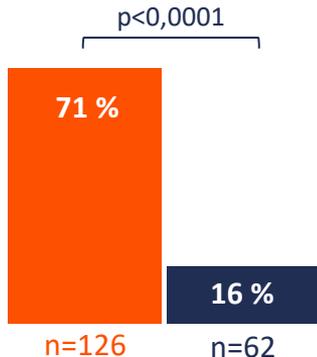


ORR (évalué de 0 à 24 semaines)

≥1 NP ≥50 x 10⁹/l[†]

Deux NP consécutives ≥30 x 10⁹/l et double par rapport à la BL

NP ≥30 x 10⁹/l avec augmentation de ≥20 x 10⁹/l par rapport à la BL[‡]



■ Sovleplenib ■ Placebo

Le sobléplénib a nettement amélioré le DRR et l'ORR par rapport au placebo dans la population ITT.

Valeurs p basées sur le test de Cochran–Mantle–Haenszel ajusté pour les facteurs de stratification de la randomisation. *Numération plaquettaire ≥50 x 10⁹/l lors de 4 à 6 visites pendant 14 à 24 semaines, non influencée par le traitement de secours. †Non impacté par le traitement de secours. ‡Pour les patients ayant une numération plaquettaire <15 x 10⁹/l à la BL.

BL, ligne de base ; DRR, taux de réponse durable ; ITT, intention de traiter ; NP, numération plaquettaire ; ORR, taux de réponse global ; TPI, thrombocytopénie immunitaire.

Yang R, et al. Présenté à : Congrès hybride EHA 2024, Madrid, Espagne. 13–16 juin 2024. Présentation orale S316.

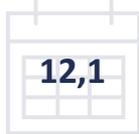
S316 : Efficacité et innocuité de l'inhibiteur de SYK sovleplenib (HMPL-523) chez des patients adultes atteints de TPI primaire chronique en Chine (ESLIM-01) : Étude de phase 3 randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo Yang R, et al.

Analyses de l'exposition et de l'innocuité des médicaments

Durée médiane de l'exposition, en semaines
Sovleplenib



Placebo



Événements indésirables associés aux soins, en %	Sovleplenib (n=126)	Placebo (n=62)	Événements indésirables les plus fréquents (≥15 %), en %	Tous les grades		Tous les grades	
				Grade 3 ou 4	Grade 3 ou 4	Grade 3 ou 4	Grade 3 ou 4
≥1 EIAS	99	85	IVRS	29	2	10	0
Grade 3/4	25	24	COVID-19	24	1	13	0
Toxicités GI			↑ LDH sanguine	24	0	6	0
Nausées	1,6	3,2					
Vomissements	1,6	1,6					
Diarrhée	1,6	0					
Hypertension	12,7	6,5					

Aucun événement thromboembolique n'a été signalé

L'incidence des EIAS a été la même avec le sovleplenib qu'avec le placebo.
Aucun événement thromboembolique ou décès n'a été rapporté.

EIAS, événement indésirable associé aux soins ; GI, gastro-intestinal ; IVRS, infection des voies respiratoires supérieures ; LDH, lactate déshydrogénase ; TPI, thrombocytopénie immunitaire. Yang R, et al. Présenté à : Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne. 13–16 juin 2024. Présentation orale S316.

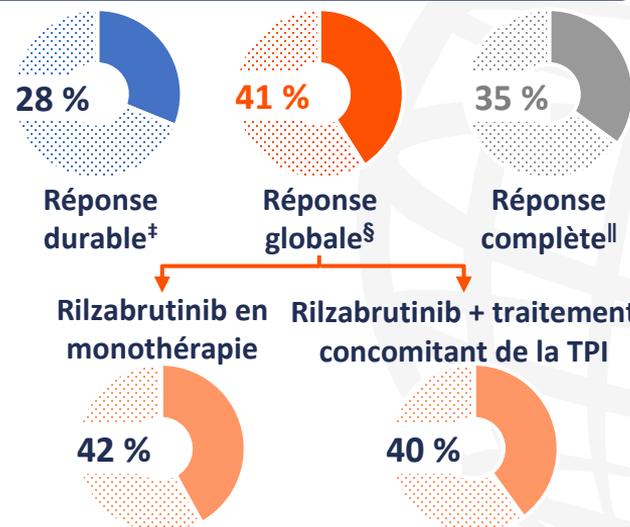


OC 13.3 : Analyse groupée de l'efficacité et de l'innocuité du rilzabrutinib, inhibiteur oral de la tyrosine kinase de Bruton, chez les patients atteints de TPI déjà traitée : étude de phase 2, Kuter D, et al.

Caractéristiques de base

Rilzabrutinib oral 400 mg BID pendant 24 semaines (N=71)	Partie A* Détermination n de la dose (n=45)	Partie B* Monodose (n=26)
Âge médian, années (plage)	52 (19–75)	
Durée médiane de la TPI, en années (plage)	7,3 (0.4–53)	
Nombre médian de plaquettes, x 10 ⁹ /l (plage)	14 (2–33)	
Médiane des traitements antérieurs uniques contre la TPI, n (plage)	6 (1–21)	
Médiane des traitements uniques de la TPI qui ont échoué [†] , n (plage)	2 (1–19)	
Rilzabrutinib en monothérapie/traitement concomitant de la TPI, en %	34/66	

Résultats d'efficacité regroupés (N=71)

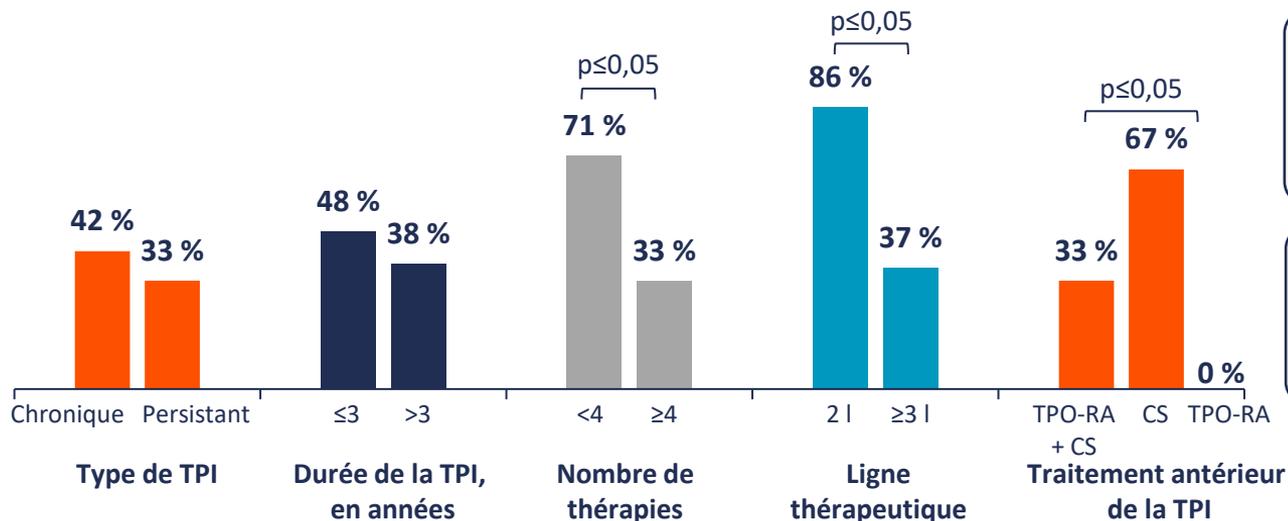


Les analyses groupées ont montré une réponse plaquettaire rapide et durable chez les patients adultes atteints de TPI recevant le rilzabrutinib en monothérapie ou avec un traitement concomitant de la TPI.

*Coupe des données pour la partie A, 9 avril 2021 ; partie B, 31 janvier 2023. [†]Défini comme ne parvenant pas à atteindre une numération plaquettaire de >50 x 10⁹/l pour un traitement donné. [‡]≥8 des 12 dernières numérations plaquettaires ≥50 x 10⁹/l. [§]≥2 numérations plaquettaires consécutives ≥50 x 10⁹/l et augmentées de ≥20 x 10⁹/l par rapport à la BL. ^{||}Nombre de plaquettes ≥100 x 10⁹/l. BID, deux fois par jour ; BL, ligne de base ; TPI, thrombocytopénie immunitaire. Kuter D, et al. Présenté à : ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande. 22–26 juin 2024. Présentation orale OC 13.3.

OC 13.3 : Analyse groupée de l'efficacité et de l'innocuité du rilzabrutinib, inhibiteur oral de la tyrosine kinase de Bruton, chez les patients atteints de TPI déjà traitée : étude de phase 2, Kuter D, et al.

Réponse plaquettaire globale* par variables de base



Délai médian avant la première NP ≥50 x 10⁹/l pour les répondeurs* **12 jours**

Réponse plaquettaire constante indépendamment de la réponse aux traitements antérieurs de la TPI

Les patients ayant reçu moins de traitements antérieurs et plus tôt présentaient des réponses plaquettaires plus élevées que les patients ayant reçu davantage de traitements et plus tard.

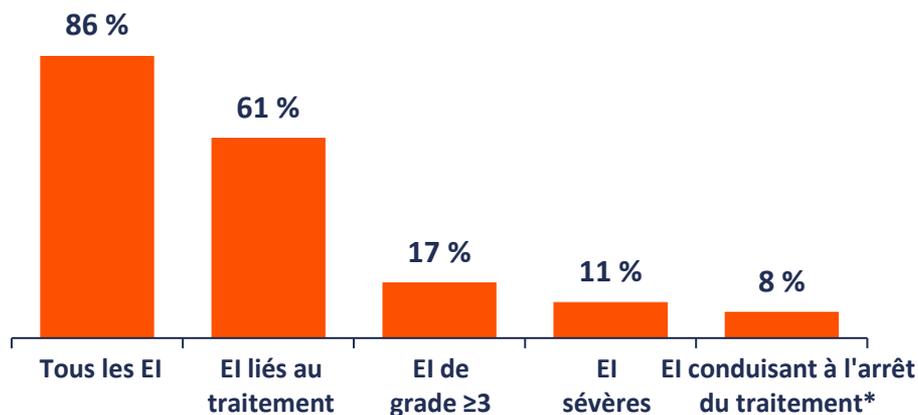
Arrêt des données : partie A 9 avril 2021 ; partie B 31 janvier 2023. *Réponse définie comme ≥2 numérations plaquettaires consécutives de ≥50 × 10⁹/l et augmentées de ≥20 × 10⁹/l par rapport à la BL sans médicament de secours.

BL, ligne de base ; CS, corticostéroïde ; NP, numération plaquettaire ; TPI, thrombocytopénie immunitaire ; TPO-RA, agoniste des récepteurs de la thrombopoïétine. Kuter D, et al. Présenté à : ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande. 22–26 juin 2024. Présentation orale OC 13.3.

OC 13.3 : Analyse groupée de l'efficacité et de l'innocuité du rilzabrutinib, inhibiteur oral de la tyrosine kinase de Bruton, chez les patients atteints de TPI déjà traitée : étude de phase 2, Kuter D, et al.

Données d'innocuité

Proportion de patients présentant des effets indésirables



Un décès est survenu, sans lien avec le traitement

EI liés au traitement (>2 patients), %

	Patients (N=71)	
	Grade 1	Grade 2
Tous les EI liés au traitement	54	27
Diarrhée	28	7
Nausées	23	3
Maux de tête	10	1
Fatigue	4	1
Vomissements	3	3

Tous les EI liés au traitement étaient des événements transitoires de grade 1 ou 2. Il n'y a pas eu d'événement thrombotique, d'EI sévère ni de décès lié au traitement.

Arrêt des données : partie A 9 avril 2021 ; partie B 31 janvier 2023. *En raison d'une hypokaliémie, d'une diarrhée de grade 2 et de selles fréquentes de grade 2 liées au traitement, et d'une gastrite de grade 2, d'un abcès sous-cutané de grade 3 et d'un syndrome d'Evans de grade 4 non liés au traitement. EI, événement indésirable. Kuter D, et al. Présenté à : ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande. 22–26 juin 2024. Présentation orale OC 13.3.

P1635 : Sécurité et innocuité à long terme du rilzabrutinib, un inhibiteur oral de la tyrosine kinase de Bruton, chez les patients atteints de TPI : phase 2 intégrée, partie A et partie B Cooper N, et al.

Résultats à long terme en matière d'efficacité et d'innocuité (N=27)*

Sur 17 patients recevant un traitement concomitant de la TPI :



Arrêt de ≥1 traitement concomitant

↓ traitement concomitant



Passage au rilzabrutinib en monothérapie

Proportion de patients présentant des effets indésirables



■ Toutes causes ■ EILT

Tous les EILT ont été transitoires et de grade 1 ou 2[†]

Aucun événement hémorragique ou thrombotique lié au traitement, aucun effet indésirable grave, aucun effet irréversible de la classe BTK ni aucun décès

Pourcentage de visites atteignant la médiane définie de la NP pendant l'ELT

≥50 x 10⁹/l 90 %

≥30 x 10⁹/l 100 %

≥20 x 10⁹/l au-dessus de la LB 97 %

Les patients de l'étude ELT ont présenté des NP élevées et durables avec le rilzabrutinib ± le traitement de la TPI. L'utilisation à long terme de 400 mg de rilzabrutinib deux fois par jour est bien tolérée.

*La date limite des données pour la partie A était le 9 avril 2021 ; pour la partie B, il s'agissait du 2 janvier 2024. [†]À l'exception d'une grippe et d'une infection des voies respiratoires inférieures sans gravité, de grade 3, chez un patient. BID, deux fois par jour ; BTK, tyrosine kinase de Bruton ; EI, événement indésirable ; EIS, effet indésirable sévère ; ELT, extension à long terme ; LB, ligne de base ; NP, numération plaquettaire ; TPI, thrombocytopénie immunitaire.

EILT, effet indésirable lié au traitement. Cooper N, et al. Présenté à : Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne. 13–16 juin 2024. Présentation de l'affiche P1635.

S318 : Un essai de phase 3, randomisé, en double aveugle, contrôlé par placebo pour évaluer l'efficacité et l'innocuité de l'avatrombopag pour le traitement des enfants atteints de TPI chronique (AVA-PED-301) **Grace RF, et al.**

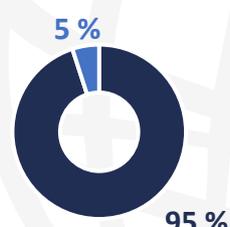
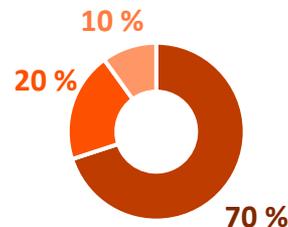
Données démographiques et caractéristiques cliniques de base

	Avatrombopag (n=54)	Placebo (n=21)
Âge moyen ± ET, en années	8,9 ± 4,4	9,9 ± 4,1
NP ≤15 x 10 ⁹ /l, %	83,3	81,0
NP moyenne ± ET	12,0 ± 6,8	11,2 ± 6,6
Temps moyen ± ET entre le diagnostic de TPI et la première dose, en semaines	202 ± 164	225 ± 181
≥3 traitements antérieurs de la TPI, %	68,5	66,7
TPO-RA antérieur, %	74,1	71,4
Réponse antérieure au TPO-RA, %	42,5	20,0
Phase centrale du Tx terminée, n (%)	44 (81,5)	1 (4,8)

Raison de l'interruption de la phase principale du traitement

Avatrombopag (n=10)

Placebo (n=20)

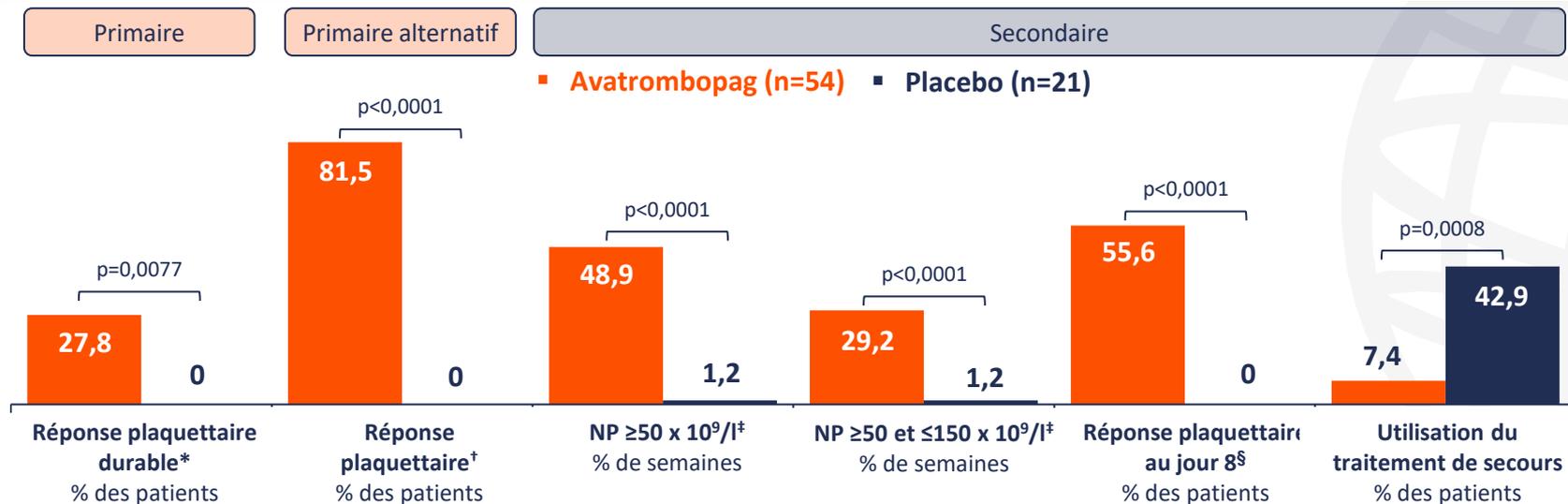


■ Manque d'efficacité ■ Événement indésirable
■ Pouvoir discrétionnaire des enquêteurs

Le délai entre le diagnostic et le traitement était >3 ans pour tous les patients. La plupart des patients avaient reçu ≥3 traitements antérieurs, dont 71–74 % avaient déjà reçu des TPO-RA.

S318 : Un essai de phase 3, randomisé, en double aveugle, contrôlé par placebo pour évaluer l'efficacité et l'innocuité de l'avatrombopag pour le traitement des enfants atteints de TPI chronique (AVA-PED-301) **Grace RF, et al.**

Résultats d'innocuité



L'avatrombopag est un TPO-RA oral efficace pour les enfants et les adolescents souffrant de TPI persistante ou chronique et dont la réponse aux traitements antérieurs est insuffisante.

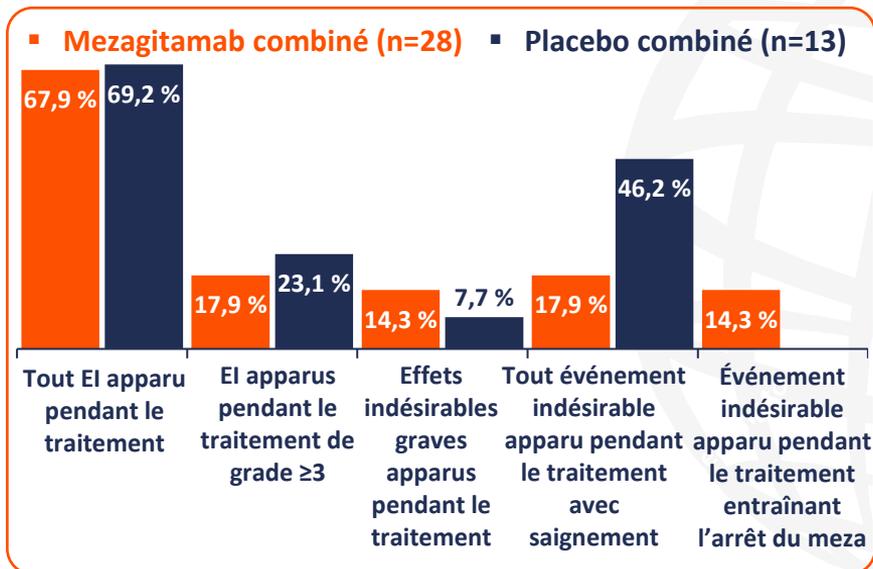
*NP ≥50 x 10⁹/l dans ≥6 des 8 dernières semaines de la phase principale en l'absence de traitement de secours. †≥2 NP consécutives ≥50 x 10⁹/l dans la phase principale de 12 semaines en l'absence de traitement de secours. ‡Pendant la phase principale de 12 semaines en l'absence de traitement de secours. §NP ≥50 x 10⁹/l au jour 8 en l'absence de traitement de secours. NP, numération plaquettaire ; TPI, thrombocytopenie immunitaire ; TPO-RA, agoniste du récepteur de la thrombopoïétine. Grace RF, et al. Présenté à : Congrès hybride EHA2024, Madrid, Espagne. 13–16 juin 2024. Présentation orale S318.

LB 01.1 : Innocuité, tolérance et efficacité du mezagitamab (TAK-079) dans la TPI primaire chronique ou persistante : résultats intermédiaires d'une étude de phase 2, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo Kuter D, et al.

Caractéristiques de base

	Mezagitamab combiné (n=28)			Placebo combiné (n=13)
	100 mg (n=9)	300 mg (n=8)	600 mg (n=11)	
Âge moyen ± ET, en années	49,7 ± 16,7			38,8 ± 15,9
NP moyenne ± ET à la sélection, x 10 ⁹ /l	19,1 ± 12,8			17,3 ± 10,4
Temps moyen ± ET depuis le diagnostic, en années	10,8 ± 10,8			11,3 ± 10,9
Nombre moyen ± ET de traitements antérieurs	3,8 ± 2,4			4,2 ± 3,4

Résultats d'innocuité primaires

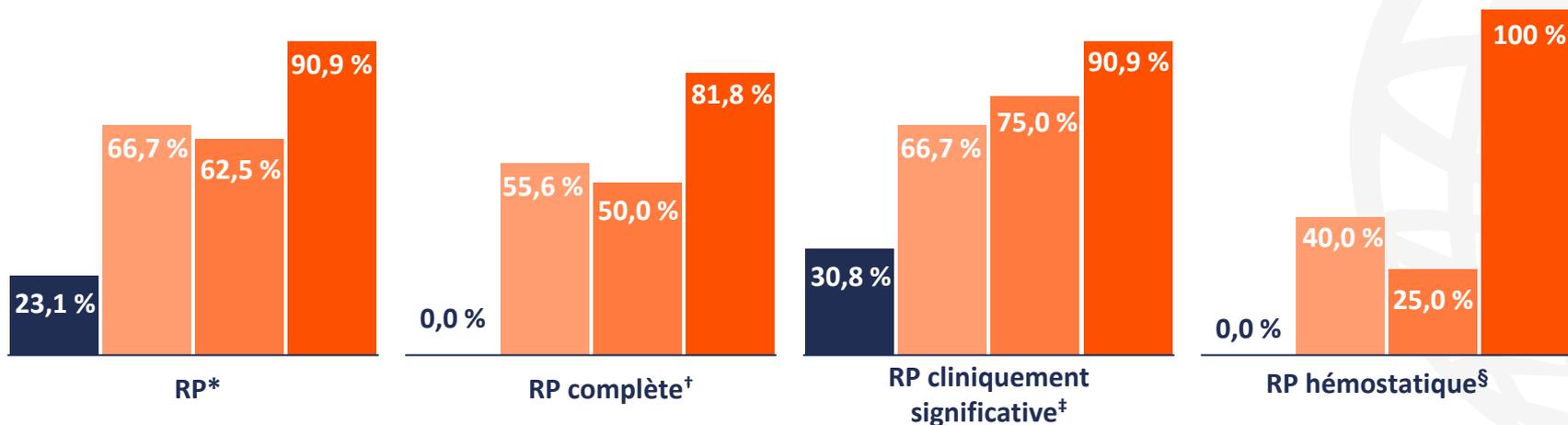


Le mézagitamab a présenté un profil d'innocuité et de tolérabilité favorable chez les patients adultes atteints de TPI chronique/persistante.

LB 01.1 : Innocuité, tolérance et efficacité du mezagitamab (TAK-079) dans la TPI primaire chronique ou persistante : résultats intermédiaires d'une étude de phase 2, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo Kuter D, et al.

Résultats d'efficacité secondaires (N=41)

■ Placebo (n=13) ■ Mezagitamab 100 mg (n=9) ■ Mezagitamab 300 mg (n=8) ■ Mezagitamab 600 mg (n=11)



Toutes les mesures d'efficacité de la réponse plaquettaire ont été les plus élevées pour la dose de 600 mg de mezagitamab, avec une amélioration significative par rapport au placebo de toutes les réponses jusqu'à la semaine 16.

*NP $\geq 50 \times 10^9/l$ et $\geq 20 \times 10^9/l$ au-dessus de la ligne de base lors de ≥ 2 visites. †NP $\geq 100 \times 10^9/l$ lors de ≥ 2 visites. ‡NP $\geq 20 \times 10^9/l$ au-dessus de la ligne de base lors de ≥ 2 visites. §NP $\geq 30 \times 10^9/l$ et $\geq 20 \times 10^9/l$ au-dessus de la ligne de base lors de ≥ 2 visites. NP, numération plaquettaire ; RP, réponse plaquettaire ; TPI, thrombocytopénie immunitaire. Kuter D, et al. Présenté à : ISTH 2024, Bangkok, Thaïlande. 22–26 juin 2024. Présentation orale LB 01.1.