

**Perspectives multidisciplinaires :  
relever les défis du diagnostic et de la prise  
en charge de la mastocytose systémique**

# 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*
- *USF Health et touchIME ont demandé à la faculté responsable de la présentation de veiller à communiquer toute référence faite à une utilisation sans étiquette ou non approuvée*
- *USF Health ou touchIME ne cautionne explicitement ou implicitement aucun produit non approuvé ou utilisation non approuvée en mentionnant ces produits ou utilisations dans les activités USF Health ou touchIME*
- *USF Health et touchIME déclinent toute responsabilité pour toute erreur ou omission*

# Panel d'experts



**Prof. Dr Vito Sabato (Président)**

**Allergologue/immunologue**  
Université d'Anvers, Belgique




**Prof. Prithviraj Bose**

**Hémato-oncologue**  
MD Anderson Cancer Center  
Université du Texas, États-Unis




**Dr Sigurd Broesby-Olsen**

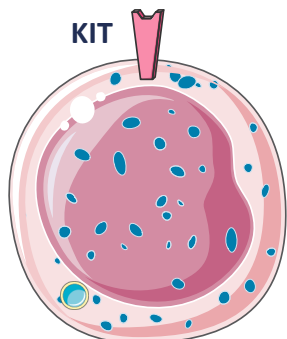
**Dermatologue/allergologue**  
Hôpital universitaire d'Odense,  
Danemark



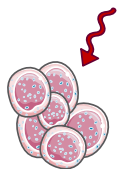
**Comment diagnostique-t-on la  
mastocytose systémique ?  
Examen du parcours actuel du patient**



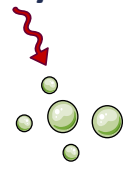
# La mastocytose systémique est une maladie hétérogène



Mastocyte



Expansion clonale



Libération des médiateurs



Prolifération clonale néoplasique de mastocytes (MC) anormaux dans les organes extracutanés<sup>1</sup>

La présentation clinique varie d'une maladie indolente à une maladie agressive<sup>1</sup>

Anomalies génétiques et moléculaires associées aux sous-types de MS<sup>1,2</sup>

- Mutations activatrices de *KIT* détectées dans une majorité de cas de MS chez les adultes, quel que soit le sous-type<sup>1</sup>

Critères ICC/OMS utilisés pour distinguer la MS des autres troubles MC<sup>1</sup>

## Principaux symptômes :<sup>2,3</sup>



- Anaphylaxie
- Symptômes GI
- Fatigue
- Bouffées de chaleur, prurit
- Douleurs osseuses et musculaires (ostéopénie/ostéoporose)

## Lésions cutanées UP<sup>5</sup>



Monomorphe



Polymorphe

Images médicales, reproduites avec autorisation, de la Figure 1 de Broesby-Olsen S dans l'Atlas mondial des allergies cutanées de l'EAACI. Droits d'auteur EAACI 2019.<sup>5</sup>

Images de mastocytes, récepteurs et médiateurs : Servier Medical Art est sous licence CC BY 4.0. Consulter <https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>.

ICC, classification internationale consensuelle ; GI, gastro-intestinal ; MC, mastocyte ; MS, mastocytose systémique ; OMS, Organisation mondiale de la santé ; UP, urticaire pigmentaire.

1. Pardanani A. *Am J Hematol.* 2023;98:1097–116 ; 2. Lee HJ, et al. *Blood Res.* 2023;58 : S96-108 ; 3. van der Weide HY, et al. *Crit Care.* 2015;19:238 ; 4. Hartmann K, et al. *J Allergy Clin Immunol.* 2016;137:35–45 ; 5. Broesby-Olsen S. Disponible sur [https://www.eaaci.org/images/Atlas/Global\\_Atlas\\_IV\\_v1.pdf](https://www.eaaci.org/images/Atlas/Global_Atlas_IV_v1.pdf) (consulté le 28 juin 2024).



**Quelles sont les options thérapeutiques actuelles  
pour la mastocytose systémique ?**



# Objectifs du traitement dans la mastocytose systémique

Objectifs de traitement  
sélectionnés par les PS :

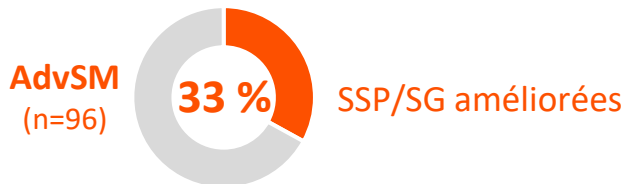
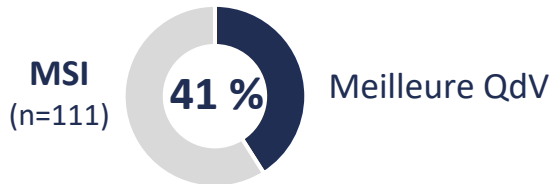


51 items  
Enquête auprès  
des PS

51 % spécialistes A/I et  
49 % spécialistes H/O



**N°1** Le plus important

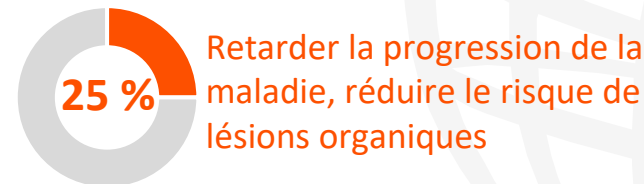
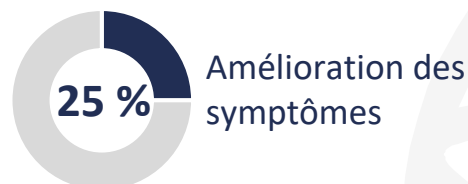


**Autres  
objectifs**



- Maintenir la capacité de mener les activités habituelles
- Réduction des épisodes anaphylactiques



**N°2** Deuxième objectif  
plus important



- Numération globulaire normale
- Normalisation de la moelle osseuse
- Réduction de la consommation de stéroïdes
- Réduction des taux de tryptase



**Que réserve l'avenir ?**  
**Stratégies de traitement nouvelles et émergentes**  
**pour la mastocytose systémique**



# Thérapies et indications émergentes

## MS non avancée

ITK

**Avapritinib**

*KITD816V/  
PDGFRαD842V<sup>1,2</sup>*

Essai **PIONEER**  
(phase II ; NCT03731260)  
MSI modérée à sévère

**Masitinib**

*ITK/PDGFR/  
Fyn/Lyn<sup>3</sup> de type sauvage*

Phase III  
(NCT00814073)  
MSI ou MSC sévère

**Bézuclastinib**

*KITD816V<sup>3</sup>*

Essai **Summit**  
(phase II ; NCT05186753)  
MSI ou MSC modérée à sévère

**Élénestinib**

*KITD816V<sup>3</sup>*

Essai **HARBOR**  
(phase II/III ;  
NCT04910685)  
MSI modérée à sévère

Approuvé par l'EMA/la FDA  
dans la MSI et l'AdvSM<sup>1,2</sup>

## MS avancée

**Bézuclastinib**

*KITD816V<sup>3</sup>*

Essai **Apex**  
(phase II ; NCT04996875)

**Élénestinib**

*KITD816V<sup>3</sup>*

Essai **AZURE**  
(phase I/II ; NCT05609942)  
En monothérapie et en  
association avec  
l'azacitidine

**Riprétinib**

*ITK/PDGFRα<sup>3</sup>*

Première administration  
chez l'humain  
(phase I ; NCT02571036)

mAb

**Flotétuzumab**

(phase I ; NCT04681105)

mAb

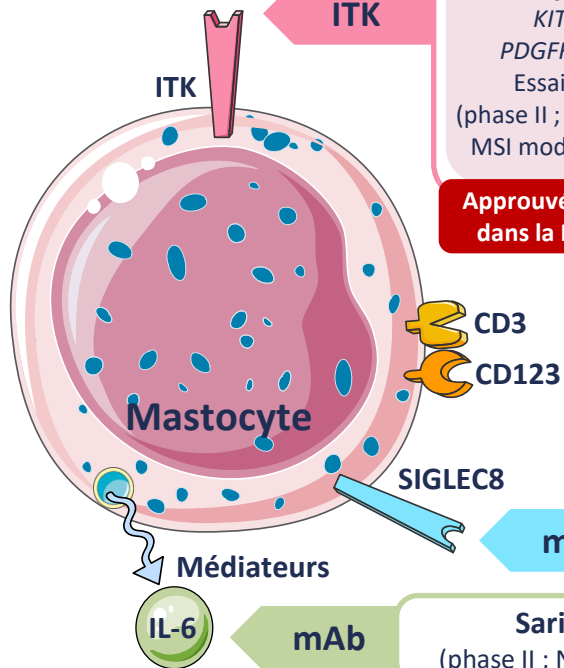
**Lirentélimab**

(phase I ; NCT02808793)

mAb

**Sarilumab**

(phase II ; NCT03770273)



Images de mastocytes, récepteurs et médiateurs : Servier Medical Art est sous licence CC BY 4.0. Consulter <https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>.

AdvSM, MS avancée ; ITK, inhibiteur de la tyrosine kinase ; mAb, anticorps monoclonal ; MS, mastocytose systémique ; MSC, MS couvante ; MSI, MS indolente.

1. EMA. Avapritinib SmPC. Disponible sur : <https://bit.ly/3KoCCJb> (consulté le 24 mai 2024) ; 2. FDA. Avapritinib PI. Disponible sur :

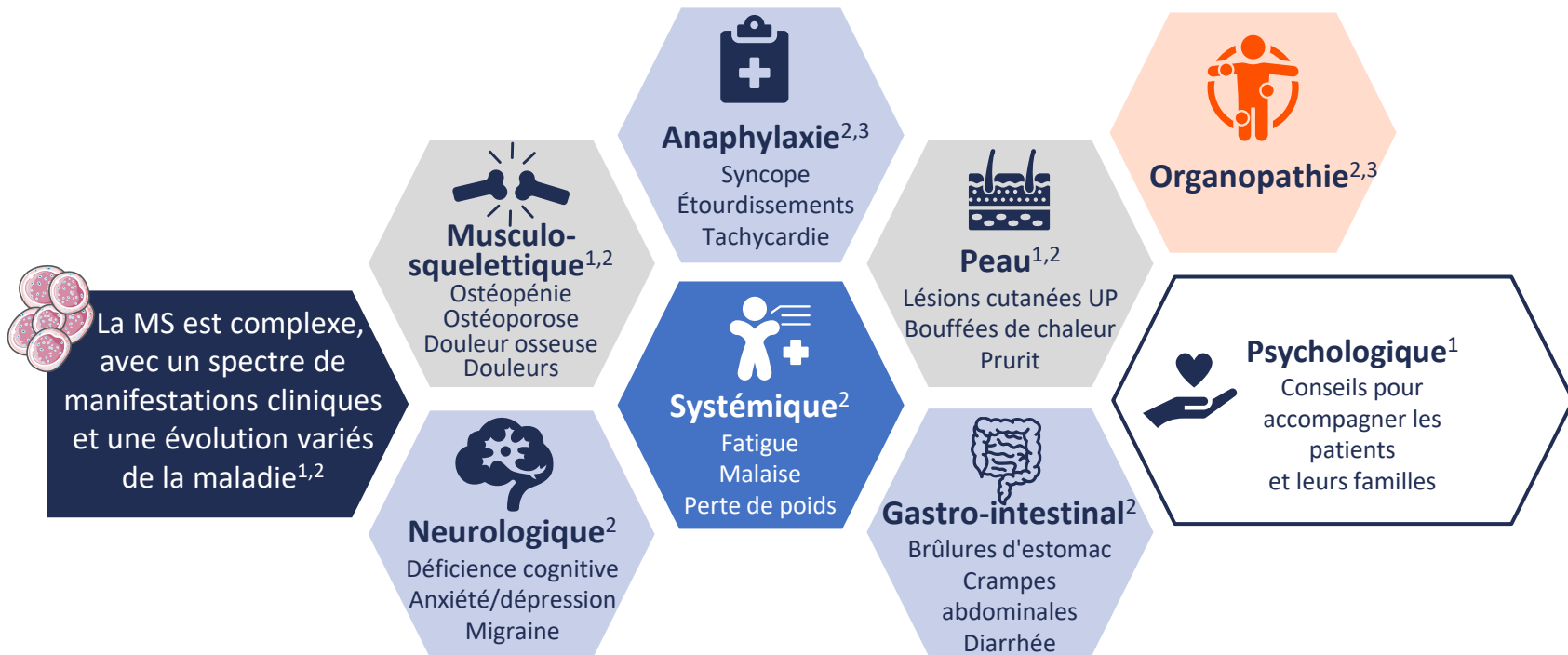
[www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2023/212608s013lbl.pdf](http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2023/212608s013lbl.pdf) (consulté le 24 mai 2024) ; 3. Sciumè M, et al. *Pharmaceuticals (Basel)*. 2022;15:738. Informations sur l'essai consultables par numéro NCT sur [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) (consulté le 13 mai 2024).



**Pouvons-nous faire plus pour nos patients ?  
Approches de prise en charge multidisciplinaires**



# Besoins en prise en charge de la MDT dans la mastocytose systémique



Images de mastocytes : Servier Medical Art est sous licence CC BY 4.0. Consulter <https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/>.

MDT, équipe multidisciplinaire ; MS, mastocytose systémique ; UP, urticaire pigmentaire.

1. Zanotti R, et al. *Mediterr J Hematol Infect Dis*. 2021;13:e2021068 ; 2. Veitch S, Radia DH. *Hematology Am Soc Hematol Educ Program*. 2023;2023:396–406 ;

3. Lee HJ, et al. *Blood Res*. 2023;58:S96–108.