

# Einblicke von EHA und ISTH 2024: Wie können wir die Versorgung von Patienten mit chronischer ITP optimieren?



**Dr. Vickie McDonald**  
Guy's & St Thomas' NHS  
Foundation Trust,  
London, Vereinigtes Königreich



**Prof. James Bussel**  
Weill Cornell Medicine,  
New York, NY, USA



**Prof. Waleed Ghanima**  
Østfold Hospital,  
Oslo, Norwegen

Aufgezeichnet im Anschluss an EHA2024 Hybrid Congress, Madrid, Spanien, 13.–16. Juni,  
und ISTH 2024, Bangkok, Thailand, 22.–26. Juni

# Rechtliche Hinweise

- *Nicht zugelassene Produkte oder nicht zugelassene Verwendungen von zugelassenen Produkten können von der Fakultät diskutiert werden; diese Situationen können den Zulassungsstatus in einer oder mehreren Rechtsordnungen widerspiegeln*
- *Die präsentierende Fakultät wurde von USF Health und touchIME beraten, um sicherzustellen, dass sie alle Hinweise auf eine nicht gekennzeichnete oder nicht zugelassene Verwendung offenlegt*
- *Durch die Erwähnung dieser Produkte oder Verwendungen bei USF Health- und touchIME-Aktivitäten wird weder ausdrücklich noch implizit eine Billigung nicht zugelassener Produkte oder nicht zugelassener Verwendungen durch USF Health oder touchIME ausgedrückt*
- *USF Health und touchIME übernehmen keine Haftung für Fehler oder Auslassungen*

# Wie wirkt sich die ITP auf den Patienten und seine gesundheitsbezogene Lebensqualität aus?

**Dr. Vickie McDonald**  
Guy's & St Thomas' NHS  
Foundation Trust,  
London, Vereinigtes Königreich



Aufgezeichnet im Anschluss an EHA2024 Hybrid Congress, Madrid, Spanien, 13.–16. Juni,  
und ISTH 2024, Bangkok, Thailand, 22.–26. Juni

# PB0687: Fatigue bei erwachsenen Patienten mit primärer ITP

Gebhart J, et al.

## Ergebnisse zu Fatigue (mittlere FACIT-F-Werte)

Gesamtmittelwert der FACIT-F-Werte  
(höhere Werte stehen für geringere Fatigue)

ITP (n=73)

Chronische/  
anhaltende  
ITP (n=46)

Neu diagnostizierte  
ITP (n=27)

Normgruppe\*  
(n=2.426)



p=0,002



p=0,031



p=0,019



P-Werte relativ zur Normgruppe

Korrelation zwischen Fatigue und ausgewählten  
klinischen Parametern bei Erwachsenen mit ITP



Thrombozytenzahl



Vitamin-D-Spiegel



Ferritin-Werte

Ferritin war der einzige signifikante Prädiktor für  
Fatigue durch Regressionsanalyse (p=0,034)

Patienten mit ITP, einschließlich Patienten mit chronischer ITP, litten deutlich stärker unter Fatigue als die Kontrollgruppe.  
Ferritinwerte sind ein Marker für Fatigue.

\*Deutsche Normstichprobengruppe von 2018.

FACIT-F, Funktionelle Bewertung der Therapie chronischer Krankheiten – Fatigue; ITP, Immunthrombozytopenie.

Gebhart A, et al. Vorgelegt auf dem ISTH Kongress 2024, Bangkok, Thailand. 22.–26. Juni 2024. Posterpräsentation PB0687.

# P1630: Inzidenz, Beschreibung und Behandlung von Venenthrombosen bei erwachsenen Patienten mit ITP. Ergebnisse des multizentrischen prospektiven Registers Carmen-France, **Therme F, et al.**

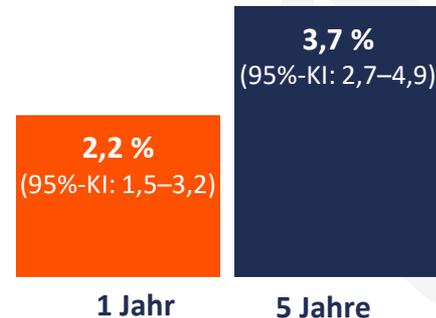
## Demografische Daten der Patienten und Auftreten von VT

	VT-Gruppe (n=53)	Nicht-VT-Gruppe (n=1251)
Medianes Alter, Jahre (Q1–3)	70 (49–81)	62 (39–77)
Thrombose in der Anamnese, %	24,5	6,3
Sekundäre ITP, %	26,4	14,5
Thrombozyten bei Diagnose, x 10 <sup>9</sup> /l (Q1–3)	8 (4–24)	18 (6–46,5)
Prothrombotische Behandlungen während der FU		
Kortikosteroide, %	94,3	81
IVIg, %	49,1	41
≥1 TPO-RA, %	62,3	28,6



Die meisten VT-Ereignisse traten innerhalb von **3 Monaten** nach der ITP-Diagnose auf

### Kumulative Inzidenzraten von VT



Ein höherer Anteil der Patienten mit VT hatte eine Thrombose in der Anamnese, sekundäre ITP, eine schwerere Erkrankung und wurde mit TPO-RA behandelt, im Vergleich zu Patienten, bei denen keine VT auftrat.

# P1630: Inzidenz, Beschreibung und Behandlung von Venenthrombosen bei erwachsenen Patienten mit ITP. Ergebnisse des multizentrischen prospektiven Registers Carmen-France, **Therme F, et al.**

## Beschreibung von VT-Ereignissen und Behandlungspraktiken



Die Patienten hatten atypische VT-Ereignisse



Zerebrale VT-Ereignisse, alle bei Patienten, die mit TPO-RA behandelt wurden



Zerebrale VT-Ereignisse bei Patienten mit einer Thrombozytenzahl >250 x 10<sup>9</sup>/l

Blutungen und thrombotische Ereignisse bei Patienten mit VT nach einer Antikoagulationsbehandlung von  $\leq 3$  oder  $\geq 6$  Monaten (n=31)

	+ TPO-RA während der Antikoagulation		– TPO-RA während der Antikoagulation	
	Thrombose	Hämorrhagie	Thrombose	Hämorrhagie
$\leq 3$ mo	1	0	0	0
$\geq 6$ mo	0	0	0	0

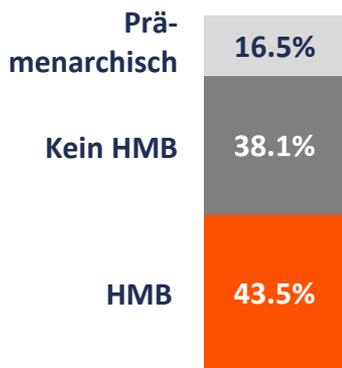
Patienten, die mit TPO-RAs behandelt wurden, hatten ein erhöhtes Risiko einer VT an einer atypischen Stelle. TPO-RAs + Antikoagulation waren eine wirksame und verträgliche Behandlungsstrategie.

# PB0694: Schwere Menstruationsblutungen sind ein häufiges, unterschätztes Problem bei Risiko-Jugendlichen mit ITP und vererbten Thrombozytenstörungen

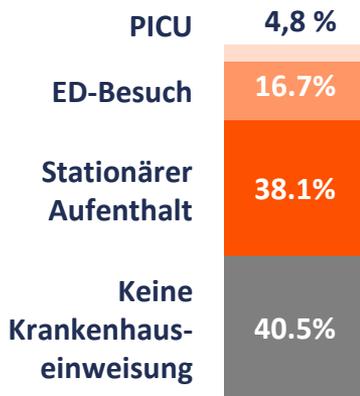
Doshi BS, et al.

Häufigkeit und Schweregrad von HMB (ITP: n=298; IPD: n=122)

Auftreten von HMB bei Risikopatienten mit ITP (n=85)

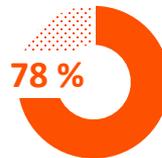


Krankenhausbehandlung von HMB bei Patienten mit ITP (n=42 Besuche)



Behandlung von HMB bei Patienten mit ITP (n=37):

- ITP-gesteuerte Langzeitbehandlung (n=24)
- Hormonelle Therapie (n=16)



der Patienten mit ITP und HMB wiesen Eisenmangel auf (n=37)



der Patienten mit ITP oder IPD wurden wegen IDA behandelt (n=42)

HMB tritt häufig bei weiblichen Patienten mit ITP auf und führt zu häufigen Krankenhausaufenthalten.  
Eisenmangel ist bei weiblichen Patienten mit ITP und HMB häufig.

# Welche aktuellen Daten liegen über den Einsatz der derzeitigen Behandlungsmethoden bei chronischer ITP vor?

**Dr. Vickie McDonald**  
Guy's & St Thomas' NHS  
Foundation Trust,  
London, Vereinigtes Königreich



Aufgezeichnet im Anschluss an EHA2024 Hybrid Congress, Madrid, Spanien, 13.–16. Juni,  
und ISTH 2024, Bangkok, Thailand, 22.–26. Juni

# P1628: Verlängertes Ansprechen nach Absetzen von TPO-RA bei primärer ITP: Langzeit-Follow-up der STOPAGO-Studie, einer prospektiven multizentrischen Studie

Cottu A, et al.

## Grundlegende Merkmale (N=48)

Chronische ITP bei  
Behandlungsbeginn mit TPO-RA

63 %

Mediane Dauer der ITP bei  
Absetzen von TPO-RA

6 Jahre

>2 Behandlungslinien

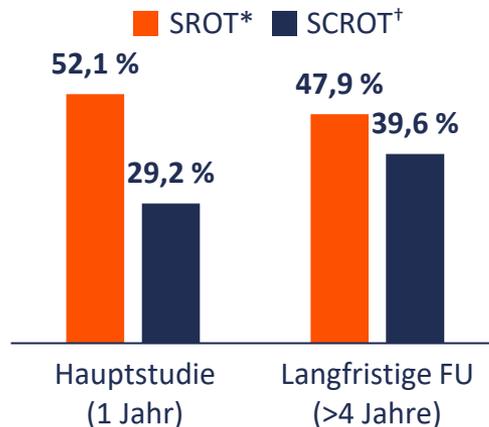
47 %

Häufigste TPO-RA

Eltrombopag  
83 %

## Klinische Ergebnisse (erweiterte FU)

### Klinisches Ansprechen nach Absetzen von TPO-RA



Mediane Dauer der  
FU 5 Jahre (4–6,3)

Zwei Patienten erlitten  
einen Rückfall<sup>‡</sup> >1 Jahr  
nach Absetzen  
von TPO-RA

Chronische ITP bei  
TPO-RA-Einleitung war  
ein Risikofaktor für  
Rückfall<sup>‡</sup> OR 5,4 (95%-KI:  
1,27–22,62); p=0,022

Etwa 50 % der Patienten behielten die SROT für >4 Jahre nach Absetzen von TPO-RA bei. Während der Langzeit-FU wurden nur zwei Fälle von Rückfällen gemeldet, was bestätigt, dass die meisten Fälle in den ersten Wochen nach dem Absetzen auftraten.

\*SROT: Thrombozytenzahl  $\geq 30 \times 10^9/l$  und keine Blutung. †SCROT: Thrombozytenzahl  $\geq 100 \times 10^9/l$  und keine Blutungen ohne ITP-spezifische Medikamente. ‡Rückfall definiert als Blutungsereignis und/oder Thrombozytenzahl  $< 30 \times 10^9/l$ . FU, Follow-up; ITP, Immnthrombozytopenie; KI, Konfidenzintervall; OR, Odds Ratio; SCROT, anhaltendes vollständiges Ansprechen auf die Behandlung; SROT, anhaltendes Ansprechen auf die Behandlung; TPO-RA, Thrombopoietin-Rezeptor-Agonist.  
Cottu A, et al. Vorgestellt auf dem EHA2024 Hybrid Kongress, Madrid, Spanien. 13.–16. Juni 2024. Posterpräsentation P1628.

# P2232: Italienische Praxiserfahrung mit Fostamatinib bei erwachsenen Patienten mit chronischer ITP, Zaja F, et al.

## Grundlegende Merkmale (N=91)

Zuvor >1 TPO-RA erhalten 57 %

Vorherige Splenektomie 23 %

≥3 Linien einer vorherigen Behandlung 83 %

Mediane Dauer von der ITP-Diagnose bis zur Fostamatinib-Behandlung 7 Jahre

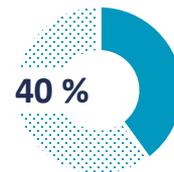
## Klinische Ergebnisse



Gesamtansprechen innerhalb von 3 Monaten



Vollständiges Ansprechen\*



Nach 6 Monaten noch unter Therapie



↑ Fostamatinib-Dosis

Bei 38 Patienten wurden 59 Nebenwirkungen berichtet (31 waren behandlungsbedingt); am häufigsten: Diarrhöe (n=13), Bluthochdruck (n=8), Transaminasenanstieg (n=8), Neutropenie (n=4)

Tx-Abbruch aufgrund von Nebenwirkungen: Neutropenie, Transaminasenanstieg, Bluthochdruck (alle n=1), Diarrhoe (n=2)

DVT: n=1 (Grad 3) 5 Monate nach Absetzen von Fostamatinib

40 % der Patienten mit refraktärer, chronischer ITP erhielten sechs Monate lang Fostamatinib, was darauf hindeutet, dass Fostamatinib in der Praxis eine wirksame Therapieoption mit einem akzeptablen Sicherheitsprofil ist.

\*Gemäß den Kriterien der International Working Group. DVT, tiefe Venenthrombose; ITP, Immunthrombozytopenie; TPO-RA, Thrombopoietin-Rezeptor-Agonist; Tx, Behandlung. Zaja F, et al. Vorgestellt auf dem EHA2024 Hybrid Kongress, Madrid, Spanien. 13–16 Juni 2024. Posterpräsentation P2232.

# P1626: Die Ergebnisse der Splenektomie bei therapieresistenter ITP sind schlecht: Eine Analyse der Real-World-Daten des britischen ITP-Registers, Chen F, et al.

Ergebnisse im Zusammenhang mit der Splenektomie bei Patienten mit therapieresistenter ITP aus dem britischen ITP-Register nach dem Jahr 2000

Mediane Dauer bis zur ersten Behandlung nach Splenektomie\*

20,83 Monate  
p<0,0001



$\leq 2$  vorherige Tx-Linien (n=102)     $\geq 3$  vorherige Tx-Linien (n=149)<sup>†</sup>

Behandlung vor der Splenektomie

$\leq 2$  Zeilen  
(n=102)



2 %

RTX



2 %

MMF



0 %

Romiplostim



0 %

Eltrombopag

$\geq 3$  Linien<sup>†</sup>  
(n=149)



39,6 %

RTX



17,5 %

MMF



20,8 %

Romiplostim



10,7 %

Eltrombopag

Die Zeit bis zum Scheitern der Splenektomie\* war bei Patienten **>65 Jahre im Vergleich zu Patienten  $\leq 65$  Jahre** signifikant kürzer (p=0,001)

Die Wahrscheinlichkeit, dass eine Splenektomie bei therapieresistenten Patienten mit ITP eine anhaltende Remission herbeiführt, ist deutlich geringer als bei nicht therapieresistenten Patienten.

\*Die durchschnittliche Zeit bis zur ersten Behandlung nach der Splenektomie war ein Surrogatmarker für das Versagen der Splenektomie. <sup>†</sup>Therapieresistente ITP, definiert als  $\geq 3$  erhaltene Therapielinien.

ITP, Immunthrombozytopenie; MMF, Mycophenolatmofetil; RTX, Rituximab; Tx, Behandlung.

Chen F, et al. Vorgestellt auf dem EHA2024 Hybrid Kongress, Madrid, Spanien. 13–16 Juni 2024. Posterpräsentation P1626.

# Welche Daten gibt es zu neuen Behandlungsmethoden für chronische ITP und was sagen sie uns?

**Dr. Vickie McDonald**  
Guy's & St Thomas' NHS  
Foundation Trust,  
London, Vereinigtes Königreich



Aufgezeichnet im Anschluss an EHA2024 Hybrid Congress, Madrid, Spanien, 13.–16. Juni,  
und ISTH 2024, Bangkok, Thailand, 22.–26. Juni

# S316: Wirksamkeit und Sicherheit des SYK-Inhibitors Sovleplenib (HMPL-523) bei erwachsenen Patienten mit chronischer primärer ITP in China (ESLIM-01): Eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-III-Studie, Yang R, et al.

## Basisdemografische Daten und Merkmale\*

Randomisiert 2:1	N=188	
	Sovleplenib 300 mg QD (n=126)	Placebo 300 mg QD (n=62)
Medianes Alter, Jahre (Spanne)	43,5 (18–72)	42,0 (18–69)
Mediane Dauer seit der ersten Verringerung der Thrombozytenzahl bis zur Randomisierung, Jahre (Bereich) $\geq 3$ Jahre, %	7,6 (1,1–36,1)	7,8 (1,1–41,2)
BL Thrombozytenzahl $< 15 \times 10^9/l$ , %	75	82
BL Thrombozytenzahl $< 15 \times 10^9/l$ , %	60	60
Frühere Splenektomie, %	4	5
Begleitende Anti-ITP-Behandlung bei BL, %	33	32

## Ungleichgewicht mit einigen Merkmalen bei BL

Sovleplenib



Placebo



Vorherige TPO/  
TPO-RA



ECOG PS von 1



WHO-  
Blutungs-  
wert von 1

\*Intention-to-treat festgelegt. Aufnahme in die Studie: September 2021–Dezember 2022; Daten-Cut-off: 14. Juli 2023.

BL, Baseline; ECOG PS, Eastern Cooperative Oncology Group Performance Status; ITP, Immunthrombozytopenie; QD (quaque die), einmal täglich; TPO, Thrombopoietin; TPO-RA, Thrombopoetin-Rezeptor-Agonist; WHO, Weltgesundheitsorganisation.

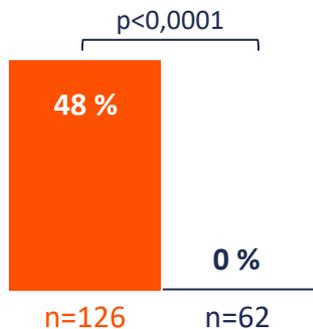
Yang R, et al. Vorgestellt auf dem EHA 2024 Hybrid Kongress, Madrid, Spanien. 13.–16. Juni 2024. Mündlicher Vortrag S316.

**S316: Wirksamkeit und Sicherheit des SYK-Inhibitors Sovleplenib (HMPL-523) bei erwachsenen Patienten mit chronischer primärer ITP in China (ESLIM-01): Eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-III-Studie, Yang R, et al.**

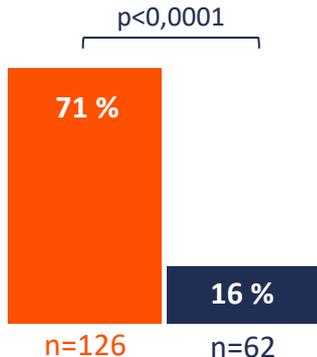
Primärer Endpunkt

Thrombozytenbezogene sekundäre Endpunkte

**DRR**  
(bewertet zwischen 14 und 24 Wochen)\*

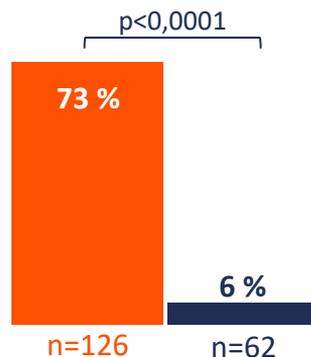


≥1 PC ≥50 x 10<sup>9</sup>/l<sup>†</sup>

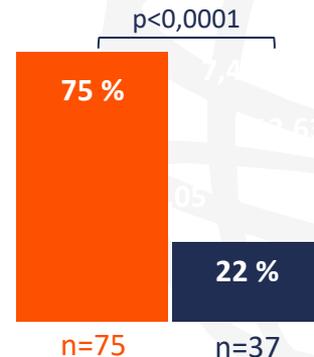


**ORR** (bewertet von 0–24 Wochen)

Zwei aufeinanderfolgende PCs ≥30 x 10<sup>9</sup>/l und doppelt seit BL



PC ≥30 x 10<sup>9</sup>/l und Anstieg um ≥20 x 10<sup>9</sup>/l seit BL<sup>‡</sup>



■ Sovleplenib ■ Placebo

Sovleplenib verbesserte die DRR und ORR gegenüber Placebo in der ITT-Population signifikant.

P-Werte basierend auf dem Cochran-Mantel-Haenszel-Test, bereinigt um Randomisierungsstratifikationsfaktoren. \*Thrombozytenzahl ≥50 x 10<sup>9</sup>/l bei 4–6 Besuchen während 14–24 Wochen, nicht beeinträchtigt durch die Rettungstherapie. †Nicht beeinträchtigt durch die Rettungstherapie. ‡Für Patienten mit einer Thrombozytenzahl von <15 x 10<sup>9</sup>/l bei BL. BL, Baseline; DRR, dauerhafte Ansprechrate; ITP, Immuntrombozytopenie; ITT, Intention to treat; ORR, Gesamtansprechrate; PC, Thrombozytenzahl. Yang R, et al. Vorgestellt auf dem EHA 2024 Hybrid Kongress, Madrid, Spanien. 13.–16. Juni 2024. Mündlicher Vortrag S316.

**S316: Wirksamkeit und Sicherheit des SYK-Inhibitors Sovleplenib (HMPL-523) bei erwachsenen Patienten mit chronischer primärer ITP in China (ESLIM-01): Eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-III-Studie Yang R, et al.**

Analysen der Arzneimittelexposition und -sicherheit

Mittlere Dauer der Exposition, Wochen

Sovleplenib



Placebo



TEAE, %	Sovleplenib (n=126)	Placebo (n=62)
≥1 TEAE	99	85
Grad 3/4	25	24
GI-Toxizitäten		
Übelkeit	1,6	3,2
Erbrechen	1,6	1,6
Durchfall	1,6	0
Bluthochdruck	12,7	6,5

Häufigste TEAE (≥15 %), %

	Alle Grade	Grad 3 oder 4	Alle Grade	Grad 3 oder 4
URTI	29	2	10	0
COVID-19	24	1	13	0
↑ LDH im Blut	24	0	6	0

Keine thromboembolischen Ereignisse berichtet

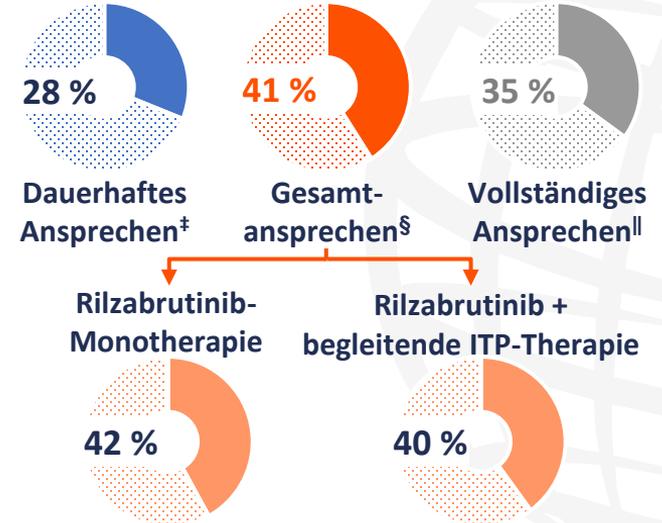
Die Inzidenz von TEAE war bei Sovleplenib im Vergleich zu Placebo ähnlich. Es wurden keine thromboembolischen Ereignisse oder Todesfälle gemeldet.

# OC 13.3: Gepoolte Wirksamkeits- und Sicherheitsanalyse des oralen Bruton-Tyrosinkinase-Inhibitors Rilzabrutinib bei Patienten mit vorbehandelter ITP: Phase-II-Studie, Kuter D, et al.

## Baseline-Merkmale

Orales Rilzabrutinib 400 mg BID für 24 Wochen (N=71)	Teil A* Dosisfindung (n=45)	Teil B* Einzeldosis (n=26)
Medianes Alter, Jahre (Spanne)	52 (19–75)	
Mediane Dauer der ITP, Jahre (Bereich)	7,3 (0,4–53)	
Mediane Thrombozytenzahl, x 10 <sup>9</sup> /l (Bereich)	14 (2–33)	
Median der einzigen vorherigen ITP-Therapien, n (Bereich)	6 (1–21)	
Median der einmalig gescheiterten ITP-Therapien <sup>†</sup> , n (Bereich)	2 (1–19)	
Rilzabrutinib-Monotherapie/begleitende ITP-Therapie, %	34/66	

## Gepoolte Wirksamkeitsergebnisse (N=71)



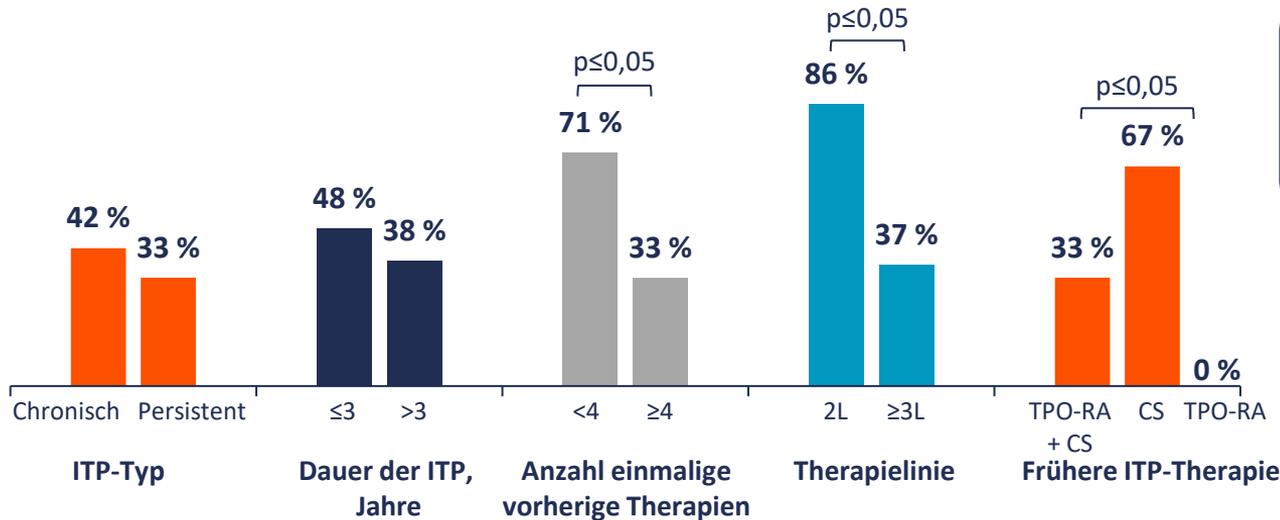
Gepoolte Analysen zeigten eine schnelle und dauerhafte Thrombozytenreaktion bei erwachsenen Patienten mit ITP, die eine Rilzabrutinib-Monotherapie oder eine begleitende ITP-Therapie erhielten.

\*Daten-Cut-off für Teil A: 9. April 2021; Teil B: 31. Januar 2023. <sup>†</sup>Definiert als Nichterreichen einer Thrombozytenzahl von  $>50 \times 10^9/l$  bei einer gegebenen Behandlung. <sup>‡</sup> $\geq 8$  der letzten 12 Thrombozytenzahlen  $\geq 50 \times 10^9/l$ . <sup>§</sup> $\geq 2$  konsekutive Thrombozytenzahlen  $\geq 50 \times 10^9/l$  und Anstieg um  $\geq 20 \times 10^9/l$  seit BL. <sup>||</sup>Thrombozytenzahl  $\geq 100 \times 10^9/l$ . BID, zweimal täglich; BL, Baseline; ITP, Immunthrombozytopenie.

Kuter D, et al. Vorgestellt auf dem ISTH Kongress 2024, Bangkok, Thailand. 22.–26. Juni 2024. Mündlicher Vortrag OC 13.3.

# OC 13.3: Gepoolte Wirksamkeits- und Sicherheitsanalyse des oralen Bruton-Tyrosinkinase-Inhibitors Rilzabrutinib bei Patienten mit vorbehandelter ITP: Phase-II-Studie, Kuter D, et al.

Gesamt-Thrombozytenreaktion\* nach Baseline-Variablen



Mediane Dauer bis zum ersten PC  $\geq 50 \times 10^9/l$  bei Respondern\* **12 Tage**

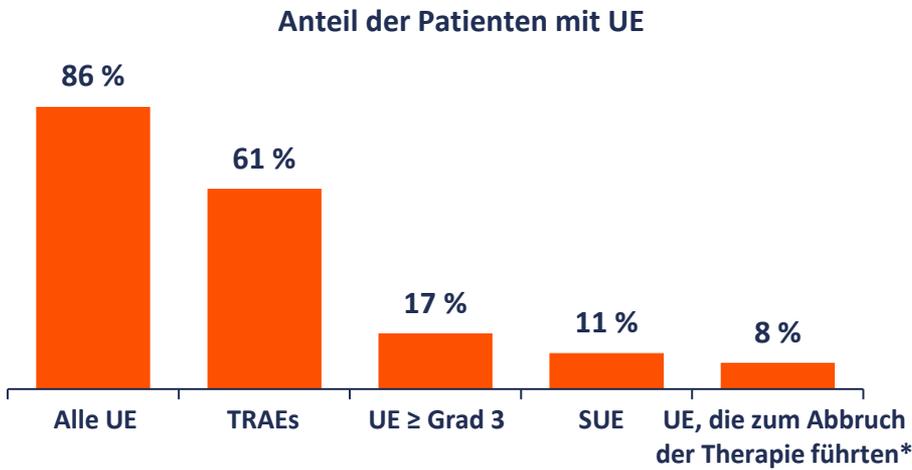
Konsistente Thrombozytenreaktion unabhängig vom Ansprechen auf frühere ITP-Therapien

Patienten mit weniger und früheren Therapielinien wiesen höhere Thrombozytenwerte auf als Patienten mit mehr und späteren Therapielinien.

Daten-Cut-off: Teil A 9. April 2021; Teil B 31. Januar 2023. \*Ansprechen definiert als  $\geq 2$  aufeinanderfolgende Thrombozytenwerte von  $\geq 50 \times 10^9/l$  und Anstieg um  $\geq 20 \times 10^9/l$  ab BL ohne Rettungstherapie.  
 BL, Baseline; CS, Kortikosteroid; ITP, Immunthrombozytopenie; PC, Thrombozytenzahl; TPO-RA, Thrombopoietin-Rezeptor-Agonist.  
 Kuter D, et al. Vorgestellt auf dem ISTH Kongress 2024, Bangkok, Thailand. 22.–26. Juni 2024. Mündlicher Vortrag OC 13.3.

# OC 13.3: Gepoolte Wirksamkeits- und Sicherheitsanalyse des oralen Bruton-Tyrosinkinase-Inhibitors Rilzabrutinib bei Patienten mit vorbehandelter ITP: Phase-II-Studie, Kuter D, et al.

## Sicherheitsdaten



TRAE (>2 Patienten), %	Patienten (n=71)	
	GRAD 1	GRAD 2
Alle TRAEs	54	27
Durchfall	28	7
Übelkeit	23	3
Kopfschmerzen	10	1
Fatigue	4	1
Erbrechen	3	3

Ein Todesfall trat auf, der jedoch nicht mit der Behandlung zusammenhing

Alle TRAEs waren vorübergehende Ereignisse von Grad 1 oder 2. Es traten keine behandlungsbedingten thrombotischen Ereignisse, SUE oder Todesfälle auf.

Daten-Cut-off: Teil A 9. April 2021; Teil B 31. Januar 2023. \*Aufgrund von behandlungsbedingter Hypokaliämie, Diarrhoe Grad 2 und häufigem Stuhlgang Grad 2 sowie nicht damit zusammenhängender Gastritis Grad 2, subkutanem Abszess Grad 3 und Evans-Syndrom Grad 4. SUE, schwerwiegendes UE; TRAE, behandlungsbedingte UE; UE, unerwünschtes Ereignis. Kuter D, et al. Vorgestellt auf dem ISTH Kongress 2024, Bangkok, Thailand. 22.–26. Juni 2024. Mündlicher Vortrag OC 13.3.1



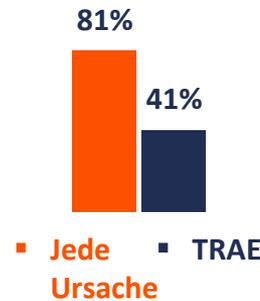
# P1635: Langfristige Sicherheit und Wirksamkeit von Rilzabrutinib, einem oralen Bruton-Tyrosinkinase-Inhibitor, bei Patienten mit ITP: Integrierte Phase II, Teil A und Teil B Cooper N, et al.

Langfristige Ergebnisse zu Wirksamkeit und Sicherheit (N=27)\*

Bei 17 Patienten, die eine ITP-Begleittherapie erhielten:



Anteil der Patienten mit UE



Waren alle TRAE vorübergehend und wiesen Grad 1 oder 2 auf<sup>†</sup>

Keine behandlungsbedingten Blutungen oder thrombotischen Ereignisse, SUE, irreversiblen Effekte der BTK-Klasse oder Todesfälle

Prozentsatz der Besuche, die den definierten medianen PC in der LTE erreichen

$\geq 50 \times 10^9/l$  **90 %**

$\geq 30 \times 10^9/l$  **100 %**

$\geq 20 \times 10^9/l$  über dem BL-Wert **97 %**

Die Patienten in der LTE-Studie zeigten unter Rilzabrutinib  $\pm$  ITP-Medikation hohe und dauerhafte PC. Die Langzeitanwendung von Rilzabrutinib mit zweimal täglich 400 mg ist gut verträglich.

\*Das Datum des Daten-Cut-offs für Teil A war der 9. April 2021, für Teil B der 2. Januar 2024. <sup>†</sup>Ausgenommen nicht schwerwiegende Influenza Grad 3 und Infektion der unteren Atemwege bei einem Patienten. BID, zweimal täglich; BL, Baseline; BTK, Bruton-Tyrosinkinase; ITP, Immunthrombozytopenie; LTE, Langzeitverlängerung; PC, Thrombozytenzahl; SUE, schweres UE; TRAE, behandlungsbedingtes UE; UE, unerwünschtes Ereignis.

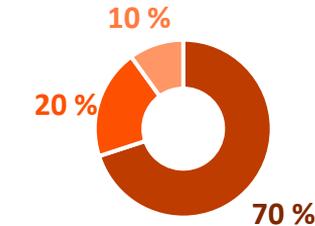
**S318: Eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-III-Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Avatrombopag bei der Behandlung von Kindern mit chronischer ITP (AVA-PED-301) Grace RF, et al.**

Demografische Baseline-Daten und klinische Merkmale

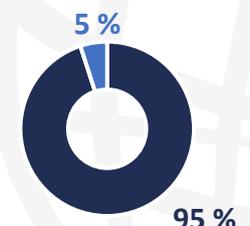
	Avatrombopag (n=54)	Placebo (n=21)
Mittleres ± SD-Alter, Jahre	8,9 ± 4,4	9,9 ± 4,1
PC ≤15 x 10 <sup>9</sup> /l, %	83,3	81,0
Mittelwert ± SD-PC	12,0 ± 6,8	11,2 ± 6,6
Mittelwert ± SD-Zeit von ITP-Dx bis zur ersten Dosis, in Wochen	202 ± 164	225 ± 181
≥3 vorherige ITP-Tx, %	68,5	66,7
Frühere TPO-RA, %	74,1	71,4
Vorheriges Ansprechen auf TPO-RA, %	42,5	20,0
Abgeschlossene Kernphase Tx, n (%)	44 (81,5)	1 (4,8)

Grund für den Abbruch der Kernphase der Therapie

Avatrombopag (n=10)



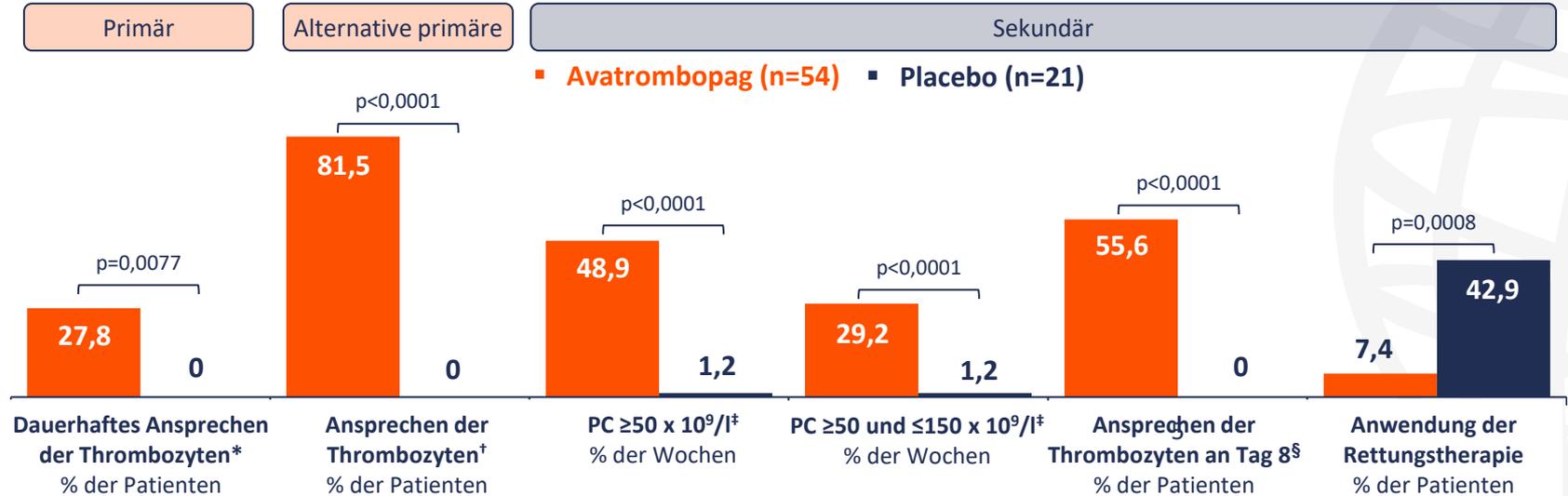
Placebo (n=20)



Die Zeit von der Diagnose bis zur Behandlung betrug bei allen Patienten >3 Jahre. Die meisten Patienten hatten ≥3 frühere Behandlungen, wobei 71–74 % frühere TPO-RA erhalten hatten.

**S318:** Eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-III-Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Avatrombopag bei der Behandlung von Kindern mit chronischer ITP (AVA-PED-301) **Grace RF, et al.**

Ergebnisse zur Wirksamkeit



Avatrombopag war ein wirksamer oraler TPO-RA für Kinder und Jugendliche mit persistierender oder chronischer ITP, die auf frühere Therapien nicht ausreichend ansprachen.

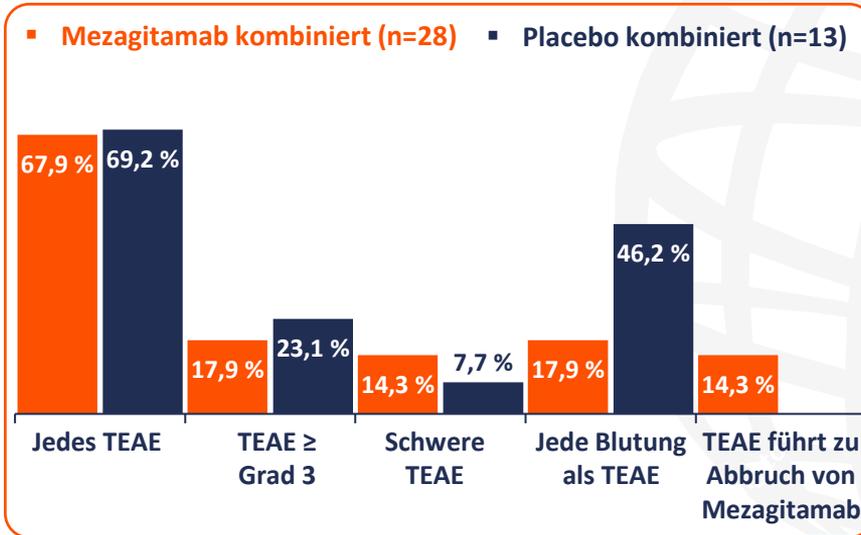
\*PC ≥50 x 10<sup>9</sup>/l in ≥6 der letzten 8 Wochen der Kernphase ohne Rettungstherapie. †≥2 konsekutive PC ≥50 x 10<sup>9</sup>/l in der 12-wöchigen Kernphase ohne Rettungstherapie. ‡Während der 12-wöchigen Kernphase ohne Rettungstherapie. §PC ≥50 x 10<sup>9</sup>/l an Tag 8 ohne Rettungstherapie. ITP, Immunthrombozytopenie; PC, Thrombozytenzahl; TPO-RA, Thrombopoietin-Rezeptor-Agonist. Grace RF, et al. Vorgestellt auf dem EHA2024 Hybrid Kongress, Madrid, Spanien. 13.–16. Juni 2024. Vortrag S318.

# LB 01.1: Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit von Mezagitamab (TAK-079) bei chronischer oder persistierender primärer ITP: Interimsergebnisse einer randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Phase-II-Studie Kuter D, et al.

## Baseline-Merkmale

	Mezagitamab kombiniert (n=28)			Placebo kombiniert (n=13)
	100 mg (n=9)	300 mg (n=8)	600 mg (n=11)	
Mittleres ± SD-Alter, Jahre	49,7 ± 16,7			38,8 ± 15,9
Mittelwert ± SD-PC beim Screening, x 10 <sup>9</sup> /l	19,1 ± 12,8			17,3 ± 10,4
Mittlere ± SD-Zeit seit der Diagnose, Jahre	10,8 ± 10,8			11,3 ± 10,9
Mittlere ± SD-Anzahl früherer Behandlungen	3,8 ± 2,4			4,2 ± 3,4

## Primäre Sicherheitsergebnisse

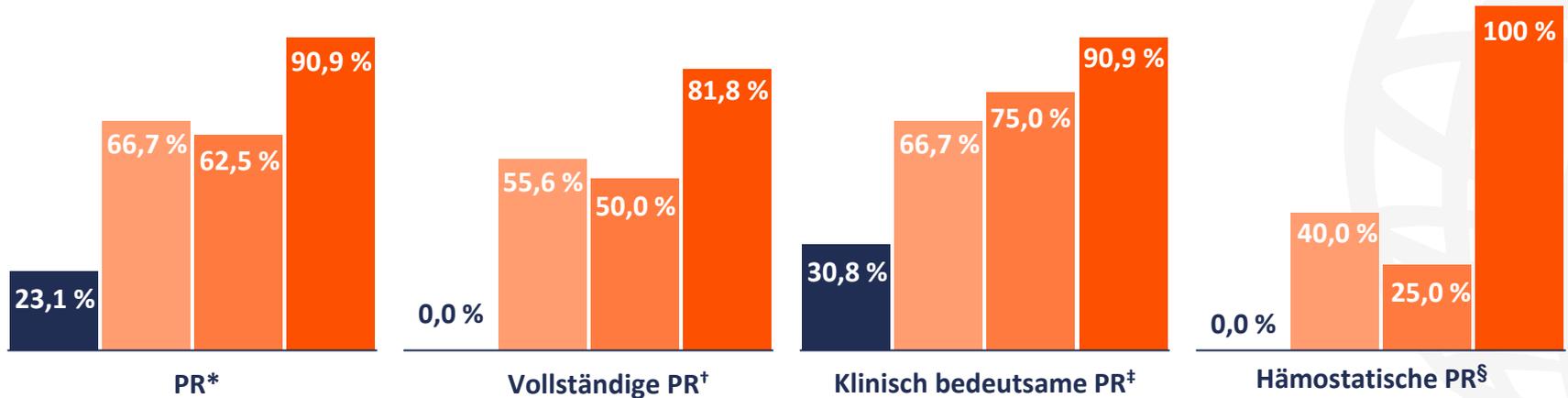


Mezagitamab wies bei erwachsenen Patienten mit chronischer/persistierender ITP ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil auf.

# LB 01.1: Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit von Mezagitamab (TAK-079) bei chronischer oder persistierender primärer ITP: Zwischenergebnisse einer randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Phase-II-Studie Kuter D, et al.

## Sekundäre Wirksamkeitsnachweise (N=41)

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



Alle Wirksamkeitsmaßnahmen für das Ansprechen der Thrombozyten waren bei der 600-mg-Dosis von Mezagitamab am höchsten, mit einer signifikanten Verbesserung im Vergleich zu Placebo bei jedem Ansprechen bis Woche 16.

\*PC  $\geq 50 \times 10^9/l$  und  $\geq 20 \times 10^9/l$  über BL bei  $\geq 2$  Besuchen. †PC  $\geq 100 \times 10^9/l$  bei  $\geq 2$  Besuchen. ‡PC  $\geq 20 \times 10^9/l$  über BL bei  $\geq 2$  Besuchen. §PC  $\geq 30 \times 10^9/L$  und  $\geq 20 \times 10^9/L$  über BL bei  $\geq 2$  Besuchen. BL, Baseline; ITP, Immunthrombozytopenie; PC, Thrombozytenzahl; PR, Ansprechen der Thrombozyten. Kuter D, et al. Vorgestellt auf dem ISTH Kongress 2024, Bangkok, Thailand. 22.–26. Juni 2024. Vortrag LB 01.1.