

# Conclusiones de EHA y ISTH 2024: ¿Cómo podemos optimizar la atención a los pacientes con PTI crónica?



**Dra. Vickie McDonald**  
Guy's & St Thomas' NHS  
Foundation Trust,  
Londres, Reino Unido



**Prof. James Bussel**  
Weill Cornell Medicine,  
Nueva York, NY, EE. UU.



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

Grabado luego del Congreso Híbrido de la EHA en Madrid, España, del 13 al 16 de junio de 2024;  
y el Congreso de la ISTH en Bangkok, Tailandia, del 22 al 26 de junio de 2024

# Aviso legal

- *El claustro puede analizar los productos no autorizados y los usos no autorizados de los productos autorizados. Estos casos pueden indicar el estado de autorización en una o más jurisdicciones*
- *El claustro encargado de la presentación ha recibido el asesoramiento de USF Health y touchIME para garantizar que divulguen las posibles recomendaciones realizadas para el uso no autorizado o no recogido en la ficha técnica*
- *USF Health y touchIME no avalan los productos ni los usos no autorizados realizados o implícitos al hacer referencia a estos productos o usos en las actividades de USF Health o touchIME*
- *USF Health y touchIME no aceptan responsabilidad alguna por los posibles errores u omisiones*

# ¿Cómo afecta la PTI al paciente y a su calidad de vida relacionada con la salud?

**Dra. Vickie McDonald**  
Guy's & St Thomas' NHS  
Foundation Trust,  
Londres, Reino Unido



Grabado luego del Congreso Híbrido de la EHA en Madrid, España, del 13 al 16 de junio de 2024;  
y el Congreso de la ISTH en Bangkok, Tailandia, del 22 al 26 de junio de 2024

# PB0687: Fatiga en pacientes adultos con PTI primaria

## Gebhart J, et al.

### Resultados en la fatiga (puntuaciones medias de FACIT-F)

Puntuaciones medias totales de FACIT-F  
(las puntuaciones más altas representan menos fatiga)

PTI (n = 73)

PTI crónica/  
persistente  
(n = 46)

PTI de diagnóstico  
reciente (n = 27)

Grupo norma\*  
(n = 2 426)



$p = 0,002$



$p = 0,031$



$p = 0,019$



Valores de  $p$  relativos al grupo norma

Correlación entre fatiga y parámetros clínicos  
seleccionados en adultos con PTI



Recuentos de  
plaquetas



Concentración de  
vitamina D



Concentración de  
ferritina

La ferritina fue el único factor predictivo significativo de fatiga según análisis de regresión ( $p = 0,034$ )

Los pacientes con PTI, incluidos aquellos con PTI crónica, experimentaron una fatiga significativamente más intensa que el grupo de control. La concentración de ferritina predice la fatiga.

\* Grupo alemán de muestras normales de 2018.

FACIT-F, Evaluación funcional del tratamiento de enfermedades crónica-Fatiga; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria. Gebhart A, et al. Presentado en la ISTH 2024, Bangkok, Tailandia. 22–26 de junio de 2024. Presentación de póster PB0687.

# P1630: Incidencia, descripción y manejo de las trombosis venosas en pacientes adultos con PTI. Resultados del registro prospectivo multicéntrico en Carmen-France

Therme F, et al.

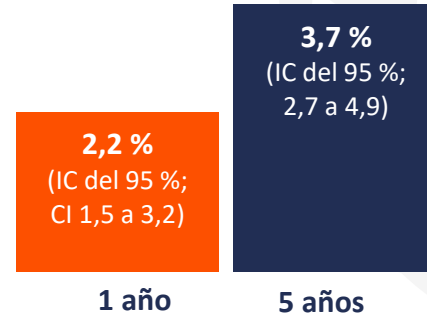
## Datos demográficos de los pacientes e incidencia de TV

	Grupo con TV (n = 53)	Grupo sin TV (n = 1 251)
Mediana de edad en años (trim. 1 a 3)	70 (49 a 81)	62 (39 a 77)
Antecedentes de trombosis, %	24,5	6,3
PTI secundaria, %	26,4	14,5
Plaquetas en el momento del diagnóstico, $\times 10^9/l$ (trim. 1 a 3)	8 (4 a 24)	18 (6 a 46,5)
Tratamientos protrombóticos durante el seg.		
Corticosteroides, %	94,3	81
IgIV, %	49,1	41
$\geq 1$ AR-TPO, %	62,3	28,6



La mayoría de los acontecimientos de TV se produjeron dentro de los **3 meses** del diagnóstico de PTI

### Tasas de incidencia acumulada de TV



Una mayor proporción de pacientes con TV tenían antecedentes de trombosis, PTI secundaria, enfermedad más grave y estaban tratados con AR-TPO en comparación con los pacientes que no experimentaron TV.

AR-TPO, agonista del receptor de trombopoyetina; IC, intervalo de confianza; IgIV, inmunoglobulina intravenosa; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; seg., seguimiento; TV, trombosis venosa.

Therme F, et al. Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA 2024, Madrid, España. 13–16 de junio de 2024. Presentación de póster P1630.

# P1630: Incidencia, descripción y manejo de las trombosis venosas en pacientes adultos con PTI. Resultados del registro prospectivo multicéntrico en Carmen-France

Therme F, et al.

## Descripción de los acontecimientos de TV y prácticas de manejo



Los pacientes presentaron acontecimientos de TV atípicos



Acontecimientos de TV cerebral, todos en pacientes tratados con AR-TPO



Acontecimientos de TV cerebral en pacientes con recuento de plaquetas  $>250 \times 10^9/l$

Acontecimientos hemorrágicos y trombóticos en pacientes que experimentaron TV tras recibir anticoagulación durante  $\leq 3$  o  $\geq 6$  meses (n = 31)

	+ AR-TPO durante la anticoagulación		- AR-TPO durante la anticoagulación	
	Trombosis	Hemorragia	Trombosis	Hemorragia
$\leq 3$ meses	1	0	0	0
$\geq 6$ meses	0	0	0	0

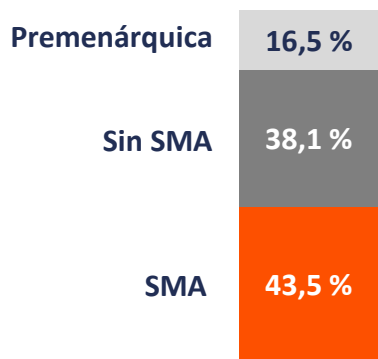
Los pacientes tratados con AR-TPO presentaron un mayor riesgo de TV en una localización atípica. AR-TPO + anticoagulación fue una estrategia de tratamiento eficaz y tolerable.

# PB0694: El sangrado menstrual abundante es un problema frecuente y poco reconocido en adolescentes en riesgo con PTI y trastornos plaquetarios hereditarios

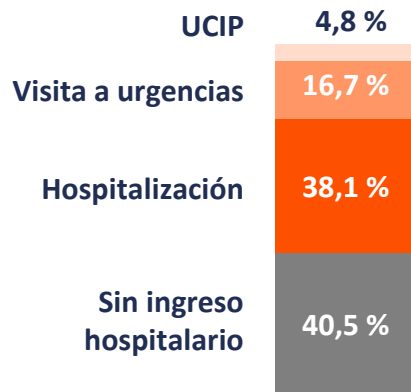
Doshi BS, et al.

Frecuencia y gravedad del SMA (PTI, n = 298; TPH, n = 122)

Incidencia del SMA en pacientes de riesgo con PTI (n = 85)

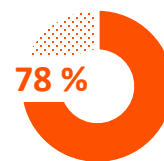


Tratamiento hospitalario del SMA en pacientes con PTI (n = 42 visitas)

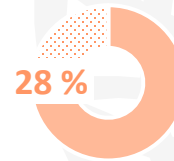


Tratamiento del SMA en pacientes con PTI (n = 37):

- Tratamiento a largo plazo dirigido a la PTI (n = 24)
- Terapia hormonal (n = 16)



De los pacientes con PTI y SMA tenían déficit de hierro (n = 37)



De los pacientes con PTI o TPH recibieron tratamiento para la AF (n = 42)

El SMA es frecuente en pacientes mujeres con PTI y da lugar a altas tasas de hospitalización.

El déficit de hierro es frecuente en pacientes mujeres con PTI y SMA.

# ¿Cuáles son los datos más recientes sobre el uso de los tratamientos actuales para la PTI crónica?

**Dra. Vickie McDonald**  
Guy's & St Thomas' NHS  
Foundation Trust,  
Londres, Reino Unido



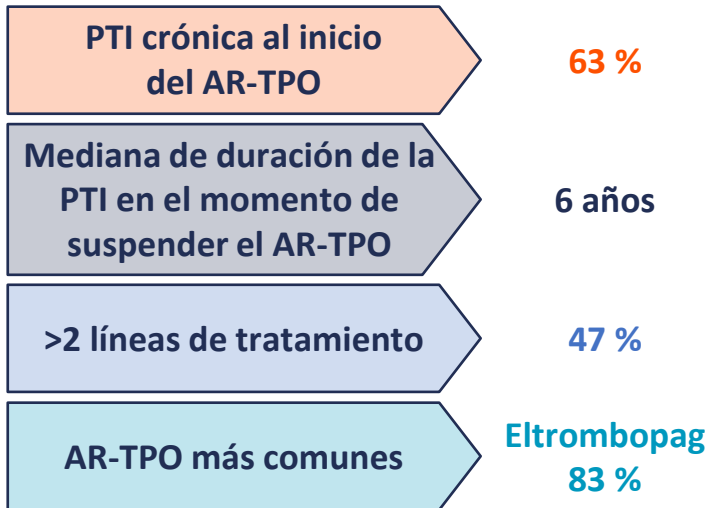
Grabado luego del Congreso Híbrido de la EHA en Madrid, España, del 13 al 16 de junio de 2024;  
y el Congreso de la ISTH en Bangkok, Tailandia, del 22 al 26 de junio de 2024



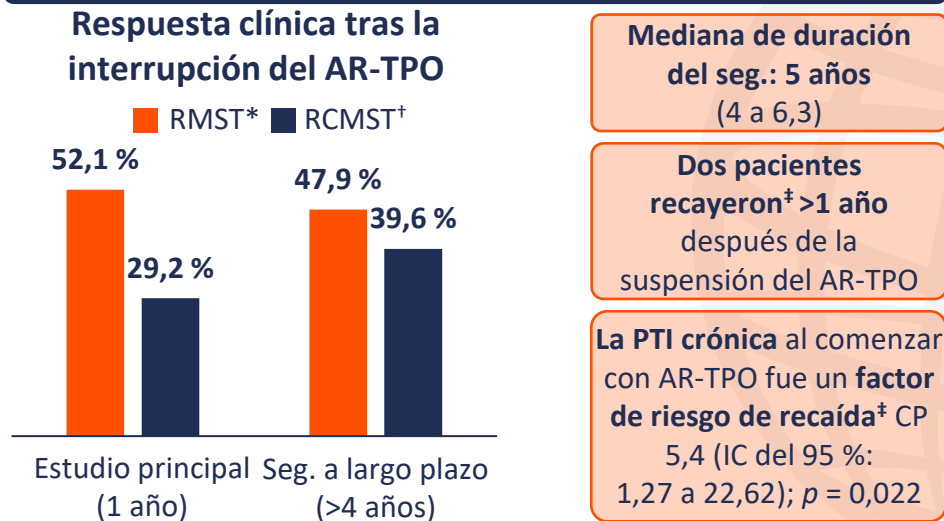
# P1628: Respuesta prolongada tras la interrupción de los AR-TPO en la PTI primaria: seguimiento a largo plazo del estudio STOPAGO, un estudio prospectivo multicéntrico

Cottu A, et al.

## Características basales (N = 48)



## Resultados clínicos (seg. ampliado)



Aproximadamente el 50 % de los pacientes mantuvieron la RMST durante >4 años tras la interrupción de los AR-TPO. Solo se notificaron dos casos de recaída durante el seg. a largo plazo, lo que confirma que la mayoría de los casos se produjeron en las primeras semanas tras la interrupción.

\* RMST: recuento de plaquetas  $\geq 30 \times 10^9/l$  y sin hemorragias. <sup>†</sup> RCMST: recuento de plaquetas  $\geq 100 \times 10^9/l$  y sin hemorragias sin medicación específica para la PTI. <sup>‡</sup> Recaída definida como acontecimiento hemorrágico o recuento de plaquetas  $< 30 \times 10^9/l$ . AR-TPO, agonista del receptor de la trombopoyetina; CP, cociente de probabilidad; IC, intervalo de confianza; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; RCMST, respuesta completa mantenida sin tratamiento; RMST, respuesta mantenida sin tratamiento; seg., seguimiento. Cottu A, et al. Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA2024, Madrid, España. 13 al 16 de junio de 2024. Presentación de póster P1628.

## P2232: Experiencia italiana en el mundo real con fostamatinib en pacientes adultos con PTI crónica, Zaja F, et al.

### Características basales (N = 91)

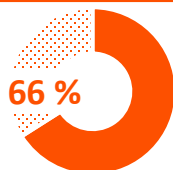
Recibieron previamente >1 AR-TPO 57 %

Esplenectomía previa 23 %

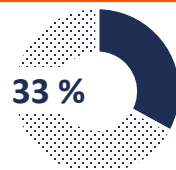
≥3 líneas de tratamiento previo 83 %

Mediana de tiempo desde el diagnóstico de PTI hasta el trat. con fostamatinib 7 años

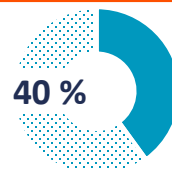
### Resultados clínicos



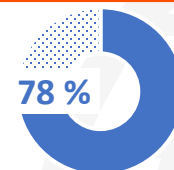
Respuesta global en 3 meses



Respuesta completa\*



Sigue recibiendo trat. a los 6 meses



↑ dosis de fostamatinib

59 efectos secundarios notificados en 38 pacientes (31 estaban relacionados con el tratamiento); los más frecuentes: diarrea (n = 13), hipertensión (n = 8), transaminitis (n = 8), neutropenia (n = 4)

Interrupción del trat. debido a efectos secundarios: neutropenia, transaminitis, hipertensión (todos n = 1), diarrea (n = 2)

TVP: n = 1 (grado 3) 5 meses tras la suspensión de fostamatinib.

El 40 % de los pacientes con PTI crónica resistente al tratamiento recibieron fostamatinib durante 6 meses, lo que sugiere que el fostamatinib es una opción terapéutica eficaz en la práctica real con un perfil de seguridad aceptable.

\* Según los criterios del Grupo de Trabajo Internacional.

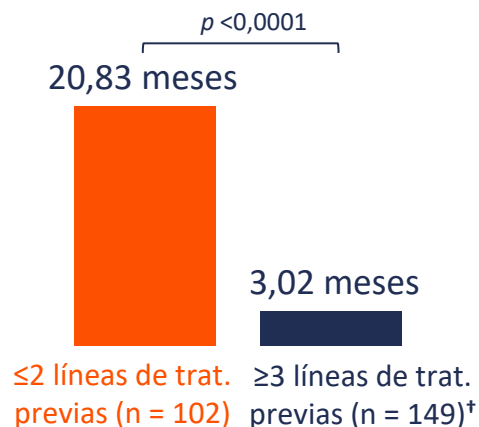
AR-TPO, agonista del receptor de la trombopoyetina; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; trat., tratamiento; TVP, trombosis venosa profunda. Zaja F, et al. Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA2024, Madrid, España. 13 al 16 de junio de 2024. Presentación de póster P2232.

# P1626: El resultado de la esplenectomía en la PTI resistente al tratamiento es desfavorable: análisis de los datos reales del registro de PTI del Reino Unido

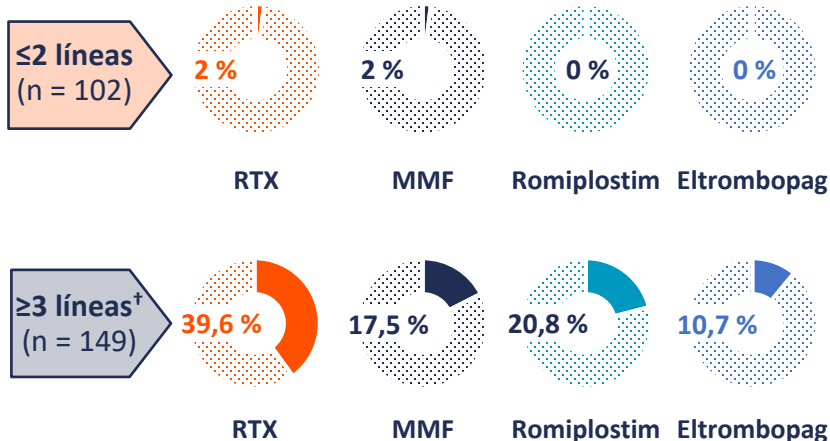
Chen F, et al.

Resultados asociados a la esplenectomía en pacientes con PTI resistente al tratamiento del registro de PTI del Reino Unido después del año 2000

Mediana del tiempo transcurrido hasta el primer tratamiento tras la esplenectomía\*



Tratamiento previo a la esplenectomía



El tiempo hasta al fracaso de la esplenectomía\* fue significativamente más corto en pacientes **>65 años** frente a pacientes  **$\le 65$  años** ( $p = 0,001$ )

La probabilidad de que la esplenectomía induzca una remisión mantenida en pacientes con PTI resistente al tratamiento es considerablemente menor frente a la de los pacientes sin resistencia al tratamiento.

\* La mediana del tiempo transcurrido hasta el primer tratamiento tras la esplenectomía fue un marcador indirecto del fracaso de la esplenectomía. <sup>†</sup>Se definió la PTI resistente al tratamiento como haber recibido  $\ge 3$  líneas de tratamiento.

MMF, micofenolato mofetilo; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; RTX, rituximab; trat., tratamiento.

Chen F, et al. Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA2024, Madrid, España. 13 al 16 de junio de 2024. Presentación de póster P1626.

# ¿Qué datos hay sobre los tratamientos nuevos de la PTI crónica y qué nos dicen?

**Dra. Vickie McDonald**  
Guy's & St Thomas' NHS  
Foundation Trust,  
Londres, Reino Unido



Grabado luego del Congreso Híbrido de la EHA en Madrid, España, del 13 al 16 de junio de 2024;  
y el Congreso de la ISTH en Bangkok, Tailandia, del 22 al 26 de junio de 2024

**S316: Eficacia y seguridad del soveplenib (HMPL-523), un inhibidor de la tirosina cinasa del bazo (SYK), en pacientes adultos con PTI primaria crónica en China (ESLIM-01): estudio de fase 3 aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo Yang R, et al.**

Datos demográficos y características basales\*

Aleatorizados 2:1	N = 188	
	Sovleplenib 300 mg QD (n = 126)	Placebo 300 mg QD (n = 62)
Mediana de edad en años (intervalo)	43,5 (18 a 72)	42,0 (18 a 69)
Mediana del tiempo transcurrido desde la primera reducción del recuento de plaquetas hasta la aleatorización, años (intervalo) ≥3 años, %	7,6 (1,1 a 36,1) 75	7,8 (1,1 a 41,2) 82
Recuento de plaquetas basal <15 × 10 <sup>9</sup> /l, %	60	60
Esplenectomía previa, %	4	5
Tratamiento concomitante anti-PTI en el momento basal, %	33	32

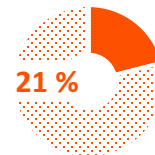
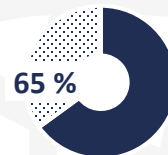
Desequilibrio en algunas características basales

Sovleplenib

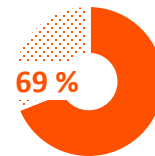
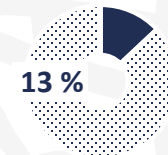
Placebo



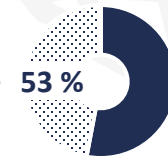
TPO/AR-TPO previos



ECOG PS de 1



Puntuación de hemorragia de la OMS de 1



\* Conjunto de intención de tratar. Reclutamiento: sep. 2021–dic. 2022; corte de datos: 14 julio 2023.

AR-TPO, agonista del receptor de la TPO; ECOG PS, Estado de rendimiento según el Grupo Oncológico Cooperativo del Este; OMS, Organización Mundial de la Salud;

PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; QD, una vez al día; TPO, trombopoyetina.

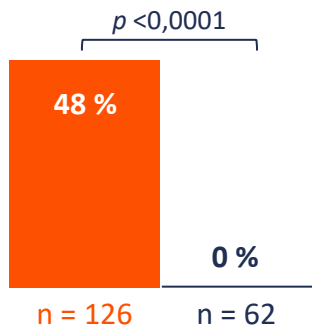
Yang R, et al. Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA 2024, Madrid, España. 13–16 de junio de 2024. Presentación oral S316.

**S316: Eficacia y seguridad del sovsleplenib (HMPL-523), un inhibidor de la tirosina cinasa del bazo (SYK), en pacientes adultos con PTI primaria crónica en China (ESLIM-01): estudio de fase 3 aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo Yang R, et al.**

Criterio de valoración principal

Criterios de valoración secundarios relacionados con las plaquetas

**TRD**  
(evaluada de 14 a 24 semanas)\*

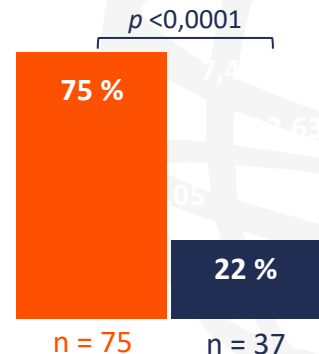
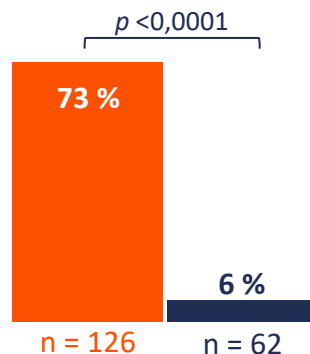
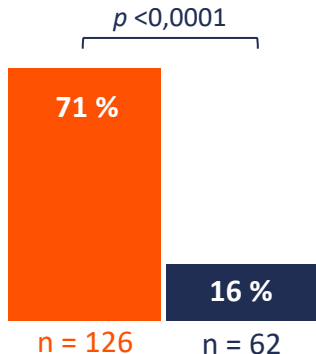


**TRG (evaluada de 0 a 24 semanas)**

≥1 RPla ≥50 × 10<sup>9</sup>/l<sup>†</sup>

Dos RPla consecutivos ≥30 × 10<sup>9</sup>/l y doble respecto al MB

RPla ≥30 × 10<sup>9</sup>/l y aumento ≥20 × 10<sup>9</sup>/l respecto al MB<sup>‡</sup>



■ Sovsleplenib ■ Placebo

El sovsleplenib mejoró significativamente la TRD y la TRG frente a placebo en la población con IDT.

Valores de p basados en la prueba de Cochran–Mante–Haenszel ajustada a los factores de estratificación de la aleatorización. \* Recuentos plaquetarios ≥50 × 10<sup>9</sup>/l en 4–6 visitas durante 14–24 semanas, no afectados por el tratamiento de rescate. †No se ve afectado por el tratamiento de rescate. ‡En pacientes con un recuento de plaquetas <15 × 10<sup>9</sup>/l en el MB.

IDT, intención de tratar; MB, momento basal; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; RPla, recuento de plaquetas; TRD, tasa de respuesta duradera; TRG, tasa de respuesta global. Yang R, et al. Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA 2024, Madrid, España. 13–16 de junio de 2024. Presentación oral S316.

**S316: Eficacia y seguridad del soveplenib (HMPL-523), un inhibidor de la tirosina cinasa del bazo, en pacientes adultos con PTI primaria crónica en China (ESLIM-01): estudio en fase III, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo Yang R, et al.**

**Análisis de exposición y seguridad de los fármacos**

Mediana de la duración de la exposición, semanas

**Sovleplenib**

**24,1**

Placebo

**12,1**

AAST, %	Sovleplenib (n = 126)	Placebo (n = 62)
≥1 AAST	99	85
Grado 3/4	25	24
Toxicidades GI		
Náuseas	1,6	3,2
Vómitos	1,6	1,6
Diarrea	1,6	0
Hipertensión	12,7	6,5

AAST más frecuentes (≥15 %), %	Todos los grados	Grado 3 o 4	Todos los grados	Grado 3 o 4
IVRA	29	2	10	0
COVID-19	24	1	13	0
↑ LDH en sangre	24	0	6	0

No se han notificado acontecimientos tromboembólicos

Hubo una incidencia similar de AAST con el soveplenib en comparación con el placebo.  
No se notificaron acontecimientos tromboembólicos ni muertes.

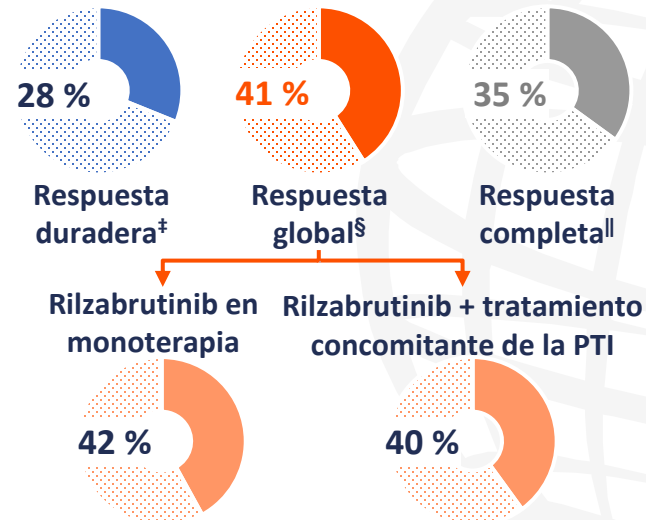
AAST, acontecimiento adverso surgido durante el tratamiento; GI, gastrointestinal; IVRA, infección de vías respiratorias altas; LDH, lactato deshidrogenasa; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria.  
Yang R, et al. Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA 2024, Madrid, España. Del 13 al 16 de junio de 2024. Presentación oral S316.

## OC 13.3: Análisis grupal de la eficacia y la seguridad del rilzabrutinib, un inhibidor oral de la tirosina cinasa de Bruton, en pacientes con PTI tratada previamente: estudio en fase 2, Kuter D, et al.

### Características basales

Rilzabrutinib oral 400 mg BID durante 24 semanas (N = 71)	Parte A* Búsqueda de dosis (n = 45)	Parte B* Dosis única (n = 26)
Mediana de edad en años (intervalo)	52 (19 a 75)	
Mediana de duración de la PTI, años (intervalo)	7,3 (0,4 a 53)	
Mediana del recuento de plaquetas, $\times 10^9/l$ (intervalo).	14 (2 a 33)	
Mediana de tratamientos previos únicos para la PTI, n (intervalo)	6 (1 a 21)	
Mediana de tratamientos únicos fallidos para la PTI <sup>†</sup> , n (intervalo)	2 (1 a 19)	
Rilzabrutinib en monoterapia/tratamiento concomitante de la PTI, %	34/66	

### Resultados de eficacia agrupados (n = 71)



Los análisis grupales mostraron una respuesta plaquetaria rápida y duradera en pacientes adultos con PTI que recibieron rilzabrutinib en monoterapia o con tratamiento concomitante de la PTI.

\* Corte de datos para la parte A: 9 de abril de 2021; parte B: 31 de enero de 2023. <sup>†</sup>Definidos como no alcanzar recuentos de plaquetas de  $>50 \times 10^9/l$  con un tratamiento determinado.

<sup>‡</sup> $\geq 8$  de los últimos 12 recuentos de plaquetas  $\geq 50 \times 10^9/l$ . <sup>§</sup> $\geq 2$  recuentos consecutivos de plaquetas  $\geq 50 \times 10^9/l$  y aumento  $\geq 20 \times 10^9/l$  respecto al MB.

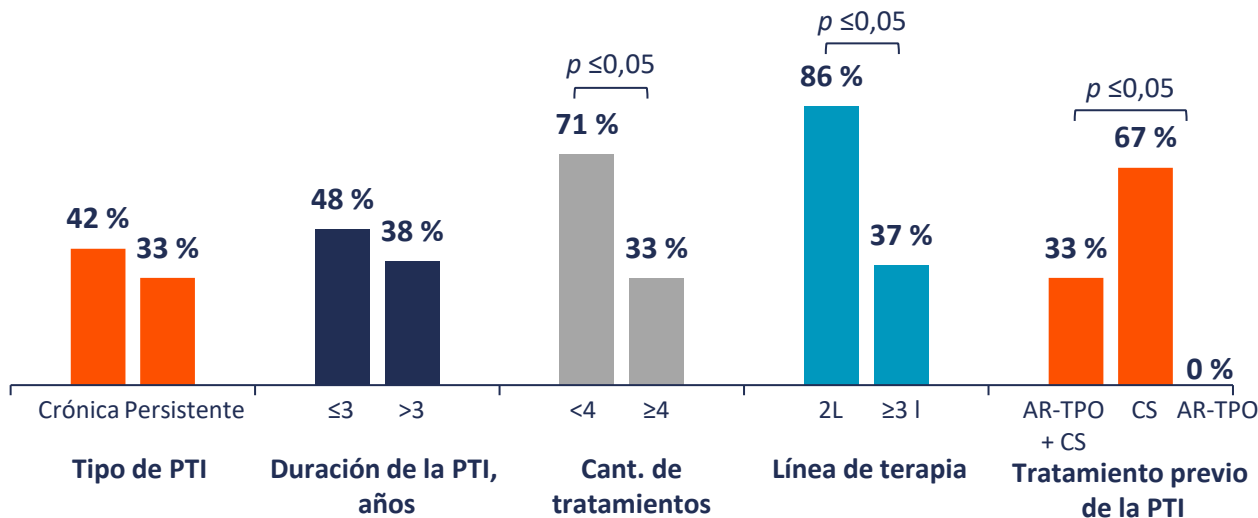
<sup>||</sup>Recuento de plaquetas  $\geq 100 \times 10^9/l$ . BID, dos veces al día; MB, momento basal; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria.

Kuter D, et al. Presentado en la ISTH 2024, Bangkok, Tailandia. 22–26 de junio de 2024. Presentación oral OC 13.3.



## OC 13.3: Análisis grupal de la eficacia y la seguridad del rilzabrutinib, un inhibidor oral de la tirosina cinasa de Bruton, en pacientes con PTI tratada previamente: estudio en fase 2, Kuter D, et al.

Respuesta plaquetaria global\* según variables basales



Mediana de tiempo hasta el primer RPla  $\geq 50 \times 10^9/l$  en pacientes con respuesta\*

12 días

Respuesta plaquetaria constante, independientemente de la respuesta a tratamientos previos de la PTI

Los pacientes con menos líneas de tratamiento previas y líneas más tempranas presentaron respuestas plaquetarias más elevadas que los pacientes con más líneas de tratamiento y más tardías.

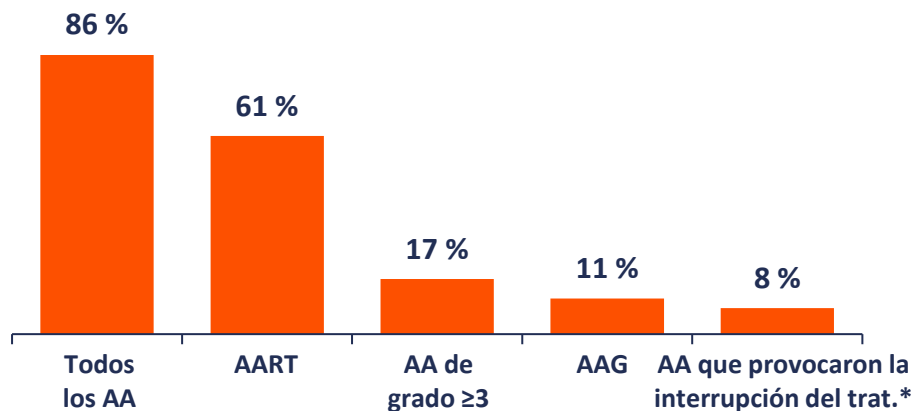
Corte de datos para la parte A: 9 de abril de 2021; parte B: 31 de enero de 2023. \* Respuesta definida como  $\geq 2$  recuentos consecutivos de plaquetas  $\geq 50 \times 10^9/l$  y aumento  $\geq 20 \times 10^9/l$  respecto al MB sin medicación de rescate.

AR-TPO, agonista del receptor de la trombopoyetina; CS, corticosteroide; MB, momento basal; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; RPla, recuento de plaquetas. Kuter D, et al. Presentado en la ISTH 2024, Bangkok, Tailandia. 22–26 de junio de 2024. Presentación oral OC 13.3.

## OC 13.3: Análisis grupal de la eficacia y la seguridad del rilzabrutinib, un inhibidor oral de la tirosina cinasa de Bruton, en pacientes con PTI tratada previamente: estudio en fase 2, Kuter D, et al.

### Datos de seguridad

#### Proporción de pacientes con AA



Se produjo una muerte no relacionada con el tratamiento

Todos los AART fueron transitorios, de grado 1 o 2.

No se produjeron acontecimientos trombóticos relacionados con el tratamiento, AAG ni muertes.

AART (>2 pacientes), %	Pacientes (N = 71)	
	Grado 1	Grado 2
Todos los AART	54	27
Diarrea	28	7
Náuseas	23	3
Dolor de cabeza	10	1
Cansancio	4	1
Vómitos	3	3

Corte de datos para la parte A: 9 de abril de 2021; parte B: 31 de enero de 2023. \* Debido a hipopotasemia relacionada con el tratamiento, diarrea de grado 2 y deposiciones frecuentes de grado 2, y gastritis de grado 2 no relacionada, absceso subcutáneo de grado 3 y síndrome de Evans de grado 4.

AA, acontecimiento adverso; AAG, AA grave; AART, AA relacionado con el tratamiento; trat., tratamiento.

Kuter D, et al. Presentado en la ISTH 2024, Bangkok, Tailandia. 22–26 de junio de 2024. Presentación oral OC 13.3.

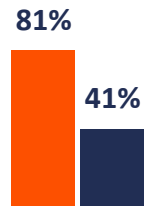
# P1635: Seguridad y eficacia a largo plazo del rilzabrutinib, un inhibidor oral de la tirosina cinasa de Bruton, en pacientes con PTI: fase II integrada, parte A y parte B Cooper N, *et al.*

Resultados de eficacia y seguridad a largo plazo (N = 27\*)

De 17 pacientes que recibían tratamiento concomitante para la PTI:



Proporción de pacientes con AA



Todos los AART fueron transitorios y de grado 1 o 2<sup>†</sup>

No se produjeron hemorragias, trombosis, AAG, efectos irreversibles de tipo BTK ni fallecimientos relacionados con el tratamiento

Porcentaje de visitas que alcanzan la mediana definida de CP en la PLP

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

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

$\geq 20 \times 10^9/l$  por encima del valor basal 97 %

Los pacientes de la PLP mostraron CP elevadas y duraderas con el rilzabrutinib  $\pm$  medicación para la PTI. El uso a largo plazo de 400 mg de rilzabrutinib 2 v/d se tolera bien.

\* La fecha de corte de los datos de la parte A fue el 9 de abril de 2021; la de la parte B, el 2 de enero de 2024. <sup>†</sup> Excepto gripe no grave de grado 3 e infección de vías respiratorias bajas en un paciente. 2 v/d, dos veces al día; AA, acontecimiento adverso; AAG, AA grave; AART, AA relacionado con el tratamiento; BTK, tirosina cinasa de Bruton; CP, cifra de plaquetas; PLP, prolongación a largo plazo; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria.

Cooper N, *et al.* Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA 2024, Madrid, España. Del 13 al 16 de junio de 2024. Presentación del póster P1635.

**S318: Ensayo en fase 3, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y la seguridad del avatrombopag para el tratamiento de niños con PTI crónica (AVA-PED-301) Grace RF, et al.**

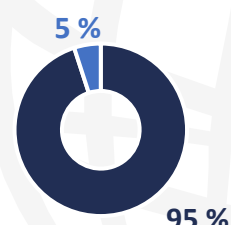
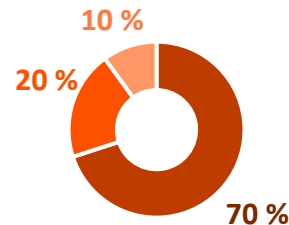
Características demográficas y clínicas basales

	Avatrombopag (n = 54)	Placebo (n = 21)
Edad media ± DE en años	8,9 ± 4,4	9,9 ± 4,1
RPla ≤15 × 10 <sup>9</sup> /l, %	83,3	81,0
RPla medio ± DE	12,0 ± 6,8	11,2 ± 6,6
Tiempo desde el diag. de PTI hasta la primera dosis medio ± DE en semanas	202 ± 164	225 ± 181
≥3 trat. previos para la PTI, %	68,5	66,7
AR-TPO previo, %	74,1	71,4
Respuesta previa al AR-TPO, %	42,5	20,0
Trat. en fase principal terminado, n (%)	44 (81,5)	1 (4,8)

Motivo de la interrupción del trat. de la fase principal

Avatrombopag (n = 10)

Placebo (n = 20)

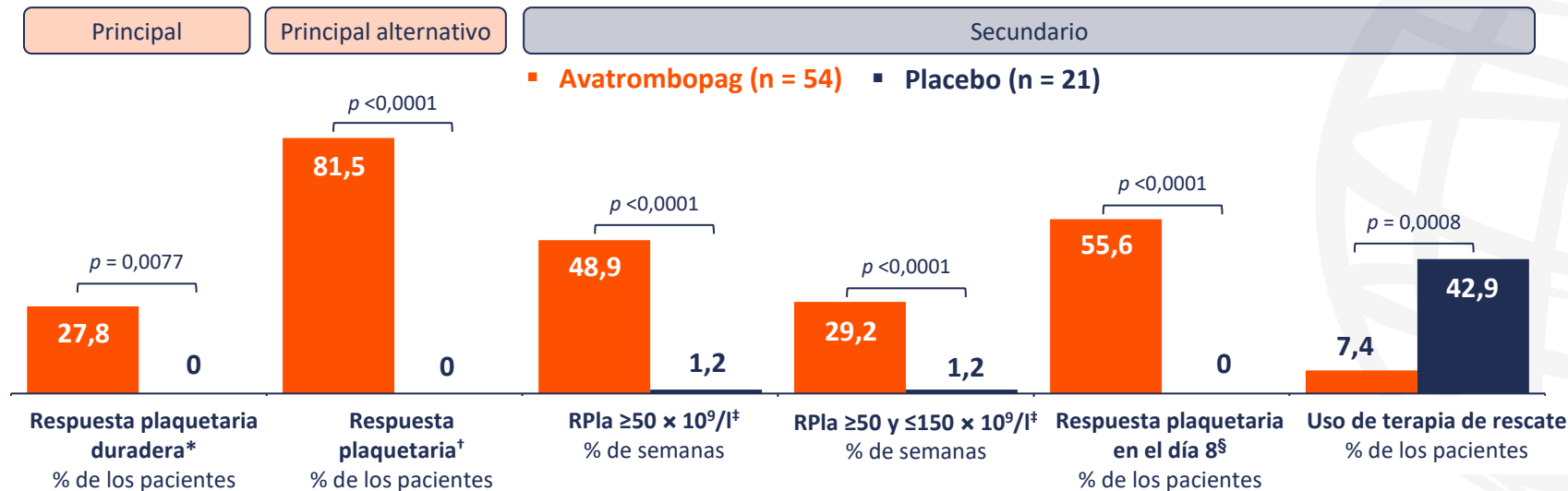


■ Falta de eficacia   
 ■ Acontecimiento adverso  
■ Criterio de los investigadores

El tiempo transcurrido desde el diagnóstico hasta el tratamiento fue >3 años en todos los pacientes. La mayoría de los pacientes tenían ≥3 tratamientos previos, y un 71–74 % había recibido AR-TPO previos.

**S318: Ensayo en fase 3, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y la seguridad del avatrombopag para el tratamiento de niños con PTI crónica (AVA-PED-301) Grace RF, et al.**

Resultados de eficacia



El avatrombopag fue un AR-TPO oral eficaz para niños y adolescentes con PTI persistente o crónica con respuesta insuficiente a terapias previas.

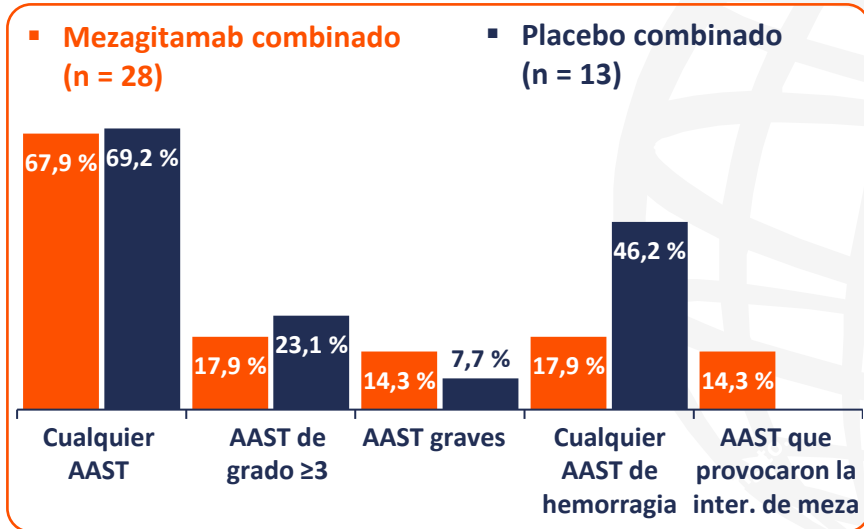
\* RPla ≥ 50 × 10<sup>9</sup>/l en ≥ 6 de las últimas 8 semanas de la fase principal en ausencia de terapia de rescate. † ≥ 2 RPla consecutivos ≥ 50 × 10<sup>9</sup>/l en la fase principal de 12 semanas en ausencia de tratamiento de rescate. ‡ Durante la fase principal de 12 semanas en ausencia de tratamiento de rescate. § RPla ≥ 50 × 10<sup>9</sup>/l en el día 8 en ausencia de tratamiento de rescate. AR-TPO, agonista del receptor de la trombopoyetina; PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; RPla, recuento de plaquetas. Grace RF, et al. Presentado en el Congreso Híbrido de la EHA2024, Madrid, España. 13 al 16 de junio de 2024. Presentación oral S318.

# LB 01.1: Seguridad, tolerabilidad y eficacia del mezagitamab (TAK-079) en la PTI primaria crónica o persistente: resultados provisionales de un estudio en fase 2, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo **Kuter D, et al.**

## Características basales

	Mezagitamab combinado (n = 28)			Placebo combinado (n = 13)
	100 mg (n = 9)	300 mg (n = 8)	600 mg (n = 11)	
Edad media ± DE en años	49,7 ± 16,7			38,8 ± 15,9
RPla medio ± DE en la selección, × 10 <sup>9</sup> /l	19,1 ± 12,8			17,3 ± 10,4
Tiempo desde el diagnóstico medio ± DE en años	10,8 ± 10,8			11,3 ± 10,9
Cant. de trat. previos medios ± DE	3,8 ± 2,4			4,2 ± 3,4

## Resultados principales de seguridad

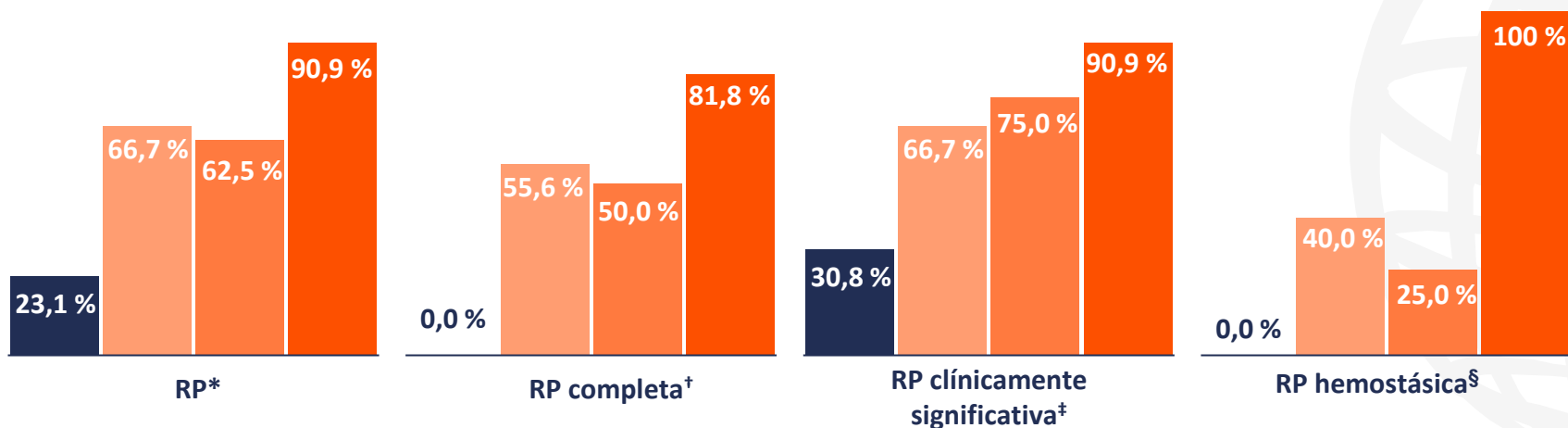


El mezagitamab presentó un perfil de seguridad y tolerabilidad favorable en pacientes adultos con PTI crónica/persistente.

## LB 01.1: Seguridad, tolerabilidad y eficacia del mezagitamab (TAK-079) en la PTI primaria crónica o persistente: resultados provisionales de un estudio en fase 2, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo **Kuter D, et al.**

### Resultados secundarios de eficacia (N = 41)

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



Todas las medidas de eficacia de la respuesta plaquetaria fueron las más altas para la dosis de 600 mg de mezagitamab, con una mejora significativa frente a placebo en todas las respuestas hasta la semana 16.

\* RPl<sub>a</sub>  $\geq 50 \times 10^9/l$  y  $\geq 20 \times 10^9/l$  por encima del valor basal en  $\geq 2$  visitas. <sup>†</sup>RPl<sub>a</sub>  $\geq 100 \times 10^9/l$  en  $\geq 2$  visitas. <sup>‡</sup>RPl<sub>a</sub>  $\geq 20 \times 10^9/l$  por encima del valor basal en  $\geq 2$  visitas. <sup>§</sup>RPl<sub>a</sub>  $\geq 30 \times 10^9/l$  y  $\geq 20 \times 10^9/l$  por encima del valor basal en  $\geq 2$  visitas. PTI, púrpura trombocitopénica inmunitaria; RP, respuesta plaquetaria; RPl<sub>a</sub>, recuento de plaquetas. Kuter D, et al. Presentado en la ISTH 2024, Bangkok, Tailandia. 22–26 de junio de 2024. Presentación oral LB 01.1.