

## Immunthrombozytopenie

**Efgartigimod bei der rezidivierten/rektraktären Immunthrombozytopenie (ADVANCE IV, Broome et al., Abstract 3), <https://ash.confex.com/ash/2022/webprogram/Paper167838.html>**

### Fragestellung

Führt die zusätzliche Therapie mit Efgartigimod bei Patientinnen und Patienten (Pat.) mit rezidivierter/refraktärer Immunthrombozytopenie (r/r ITP) und persistierender Thrombozytopenie trotz Standardtherapie zu einer nachhaltigen Steigerung der Thrombozyten?

### Hintergrund

Bei Pat. mit r/r ITP und niedrigen Thrombozyten trotz adäquater Therapie besteht ein ungedeckter medizinischer Bedarf. Efgartigimod ist ein Fc-Fragment, das mit hoher Affinität an den neonatalen Fc Rezeptor bindet. Es verhindert damit das Recycling von endogenen IgG-Antikörpern. In der ADVANCE IV Studien wurden Pat. mit r/r ITP und Thrombozyten  $<30 \times 10^9/L$  zur intravenösen Therapie mit Efgartigimod versus eine Fortsetzung der bisherigen Therapie (orale Kortikosteroide, orale Immunsuppression, Dapson, Danazol, Fostamatinib, Eltrombopag, Avatrombopag) randomisiert. Primärer Endpunkt war die nachhaltige Steigerung der Thrombozyten auf  $\geq 50 \times 10^9/L$ .

### Ergebnisse

Studie	Risikogruppe	Kontrolle	Neue Therapie	N <sup>1</sup>	Stabiles Ansprechen <sup>2</sup>
ADVANCE IV	r/r ITP, Thrombozyten $<30 \times 10^9/L$	Fortsetzung der bisherigen Therapie + Placebo	Fortsetzung der bisherigen Therapie + Efgartigimod	131 (1:2)	5,0 vs 21,8 <sup>5</sup> p = 0,0316

<sup>1</sup> N - Anzahl Pat.; <sup>2</sup>stabiles Ansprechen – nach 6 Monaten Thrombozyten  $>50.000 \times 10^9/L$  ohne zusätzliche Therapie; <sup>3</sup> HR - Hazard Ratio; <sup>4</sup> Ergebnis für Kontrolle, Ergebnis für Neue Therapie;

### Zusammenfassung der Präsentation

Bei Pat. mit chronischer, r/r ITP führte Efgartigimod gegenüber Placebo zum nachhaltigen Anstieg der Thrombozyten entsprechend dem Studiendesign. Bei Anwendung von Kriterien der International Working Group war der Unterschied noch deutlicher. Die Verträglichkeit war gut.

### Kommentar

Jetzt steht ein weiteres Arzneimittel für die Therapie der r/r ITP mit einem neuen Wirkmechanismus bereit. Efgartigimod ist bereits in Deutschland für die Behandlung einer anderen Autoimmunerkrankung, der Myasthenia gravis, zugelassen. Unklar ist, ob Efgartigimod bei der r/r ITP vor allem in Kombination mit den anderen eingesetzten Arzneimitteln oder auch als Monotherapie wirksam ist.