

Compte-rendu

# Thrombocytopénie immune: A new hope!

Mycophenolate Mofetil for First-Line Treatment of Immune Thrombocytopenia

C. A. Bradbury et al., NEJM, 02.09.2021

DOI: [10.1056/NEJMoa2100596](https://doi.org/10.1056/NEJMoa2100596)

## Introduction

La TPI se caractérise par une consommation accrue des plaquettes et une diminution de leur production sur atteinte auto-immune, touchant l'immunité cellulaire (cellules T cytotoxiques auto réactives) et humorale (auto-anticorps), dont la pathogénèse n'est pas complètement élucidée. La première ligne thérapeutique comporte des glucocorticoïdes (GC) avec un taux de réponse d'environ 20-30% et une rémission complète au long cours de 20%. En cas d'échec, les alternatives sont les agonistes du TPO, le rituximab et la splénectomie. Cette étude s'intéresse à l'utilisation de mycophenolate-mofetil (MMF) en combinaison avec des GC comme première ligne thérapeutique comparée aux GC seuls.

## Méthode

Etude multicentrique, *open-label*, RCT 1 :1 (groupe MMF et GC vs. GC seuls). N= 120. **Critères d'inclusion** : >16 ans, TPI 1aire ou 2aire, taux plaquettaire <30 G/l. **Critères d'exclusion** : grossesse/allaitement ; infection VIH, HBV et HCV ; immunodéficience commune variable, ou contre-indications aux molécules (MMF/GC). **Issue primaire** : échec thérapeutique (Plaquettes <30 G/l et nécessité de traitement de 2<sup>ème</sup> ligne) calculé en *time-to-event*. **Issues secondaires** : effets 2aires médicamenteux, hémorragies, réponse thérapeutique, nécessité de traitement de rattrapage et qualité e vie.

## Résultats

L'issue primaire est survenue chez 22% des patient.e.s du groupe MMF vs. 44% du groupe GC seuls [HR 0.41 (95% IC 0.21-0.80) ; p=0.008]. Parmi les issues secondaires, notons une meilleure réponse chez les patient.e.s traité.e.s avec MMF en première ligne (6.8% des cas réfractaires vs. 24.6% dans le groupe GC) mais avec réponse thérapeutique à 2 semaines similaire. Les patient.e.s du groupe MMF rapportent plus facilement de la fatigue et ont des scores relatifs à l'état de santé plus bas. A noter qu'il n'y avait pas plus d'évènements indésirables dans le groupe MMF, notamment pas plus d'infections ni d'hémorragies.

## Discussion

Cette étude montre une meilleure efficacité du traitement combiné MMF + GC par rapport au traitement initial habituel de GC seuls, avec plus faible nombre de cas réfractaires. Cela pourrait changer la prise en charge de la TPI prochainement, notamment dans les cas réfractaires aux GC seuls où l'ajout du MMF devrait être considéré comme 1<sup>ère</sup> alternative. Ces résultats sont à pondérer chez les patient.e.s souffrant d'un TPI secondaire, très peu représentés dans l'échantillon.

Date de publication	Auteurs
30.10.2021	Sara I. Gironda