

Compte-rendu

# Thrombocytopénie immune: A new hope!

## Mots-clés

Thrombocytopénie immune, Mycophenolate mofetil  
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 1aie ou 2aie, 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	