

Tolérance et efficacité des thérapies ciblées prescrites dans des indications hors AMM au cours des maladies auto-immunes systémiques réfractaires

Type de contenu : Texte

Type de médiation : sans médiation

Type de support : Volume

Titre(s) : Tolérance et efficacité des thérapies ciblées prescrites dans des indications hors AMM au cours des maladies auto-immunes systémiques réfractaires : données des 100 premiers patients inclus dans le registre TATA (TARgeted Therapy in Autoimmune Diseases) / Aurore Chaudier ; sous la direction du Pr Jacques-Eric Gottenberg

Est reproduit comme : Tolérance et efficacité des thérapies ciblées prescrites dans des indications hors AMM au cours des maladies auto-immunes systémiques réfractaires données des 100 premiers patients inclus dans le registre TATA (TARgeted Therapy in Autoimmune Diseases) Aurore Chaudier 2021

Auteur(s) : Chaudier, Aurore (1993-....)

Autre(s) auteur(s) : Gottenberg, Jacques-Eric (19..-....)
Université de Lorraine 2012-....

Production : 2021

Description matérielle : 1 vol. (60 f.) : ill. ; 30 cm

Titre traduit ajouté par le catalogueur : Tolerance and efficacy of targeted therapies prescribed for off-label indications in refractory systemic autoimmune diseases data from the first 100 patients included in the TARgeted Therapy in Autoimmune Diseases (TATA) Registry eng

Note sur les bibliographies et les index : Bibliogr. f.51-53 (23 réf.) Annexes

Note de thèses et écrits académiques : Thèse d'exercice Médecine Université de Lorraine 2021

Résumé ou extrait : **OBJECTIFS** : Évaluer la tolérance et l'efficacité des thérapies ciblées prescrites hors AMM au cours des maladies auto-immunes systémiques réfractaires. **MATÉRIELS ET MÉTHODES** : Le registre TATA (TARgeted Therapy in Autoimmune Diseases) est un suivi de cohorte prospectif observationnel national, indépendant. Les critères d'inclusion dans le registre sont les suivant : âge > 18 ans ; maladie auto-immune systémique rare (lupus systémique, syndrome de Gougerot- Sjögren, sclérodermie systémique, myopathie inflammatoire) autre rhumatisme réfractaire ; traitement ciblé hors AMM initié après le 1er janvier 2019. La plupart de ces prescriptions hors AMM ont été faites après avis d'un centre de référence ou de compétence. Les patients sont suivis à 3 mois, 6 mois, puis tous les 6 mois, jusqu' 1 an après l'arrêt du traitement ciblé. L'efficacité du traitement ciblé est évaluée par la

durée du maintien thérapeutique, l'épargne cortisonique et l'avis du clinicien. RESULTATS : 100 patients ont été inclus (22 hommes, 78 femmes). L'âge médian était de 53,5 ans [51 ;57], la durée médiane d'évolution de la maladie était de 5,5 ans [4 ;7]. Les thérapies ciblées à l'inclusion étaient les suivantes : inhibiteurs de JAK/STAT (42%), anti-IL-6R (20%), anti-IL2/23 (7%), anti-IL23 et anti-IL17 (8%), anti-BAFF (5%), abatacept (5%), daratumumab (1%), autres traitements ciblés (6%, dont belimumab et anti-CD20, nintedanib et biologique). La durée médiane de suivi est de 9 mois [7,5 ;10,5]. 11 infections sévères (14,8 infections sévères/100 patients-année) ont entraîné 2 décès (2,7 décès/100 patients-année), et 1 cancer (1,3 cancer/100 patients-année). Le traitement ciblé a été jugé efficace par le clinicien chez 57% des patients, avec une diminution médiane de 5mg/j par rapport à la corticothérapie initiale chez les répondeurs. 67 % des répondeurs ayant une corticothérapie initiale à 37,5 mg/j ont pu diminuer la corticothérapie en dessous de 7,5 mg/j. CONCLUSION : Ces premiers résultats du registre TATA confirment la diversité des traitements ciblés prescrits hors AMM au cours des maladies auto-immunes réfractaires et leur effet d'épargne cortisonique en cas d'efficacité. Ils montrent également un taux d'infection sévère plus élevé que dans les indications validées, ce qui est attendu du fait des posologies initiales de corticoïdes plus élevées qu'au cours de la polyarthrite rhumatoïde, ou des spondylarthropathies et du caractère multi-réfractaire des pathologies de ces patients ayant justifié la prescription hors AMM. Il est collectivement important d'étendre ce suivi prospectif homogène pour confirmer ces premiers résultats.

Sujet - Nom commun : Maladies autoimmunes

Thérapie moléculaire ciblée

Médicaments -- Efficacité

Forme, genre ou caractéristiques physiques : Thèses et écrits académiques