

Tolérance et efficacité du fostamatinib comme traitement de la thrombopénie immunologique secondaire à une connectivite et/ou à un syndrome des anti-phospholipides.

## « CONNEC-SYK »

### **Contexte**

La thrombopénie immunologique (PTI) peut être primaire ou secondaire à une autre pathologie, notamment une maladie auto-immune systémique de type connectivite (principalement le lupus systémique, le syndrome de Sjögren, ou d'autres connectivites), et/ou à un syndrome des anticorps anti-phospholipides (SAPL)<sup>1</sup>.

En cas d'échec des traitements de première ligne, un traitement de fond est souvent nécessaire si les plaquettes sont basses. Les traitements de fond ayant l'AMM ou un remboursement en France dans cette situation sont les agonistes du récepteur de la thrombopoïétine (ARTPO) (eltrombopag, romiplostim), le rituximab et plus récemment le fostamatinib, un inhibiteur de la spleen tyrosine kinase (SYK).

Bien que le positionnement de ce médicament ne soit pas encore parfaitement établi dans la stratégie thérapeutique, les données du registre prospectif CARMEN France portant sur plus de 100 malades atteints de PTI traités par fostamatinib confirment la bonne tolérance globale rapportée dans les études pivotales et notamment l'absence de surrisque de thrombose et d'immunodépression profonde, rendant son utilisation intéressante chez les patients avec connectivite et/ou un SAPL.

Cette étude observationnelle a pour but d'apprécier de manière prospective au sein du registre CARMEN<sup>2</sup> la tolérance et l'efficacité du fostamatinib au cours du PTI secondaire à une connectivite et/ou à un SAPL.

### **Objectif principal :**

1. Décrire la sécurité d'utilisation en vie réelle du fostamatinib pour un PTI secondaire à une connectivite et/ou à un SAPL.

### **Objectifs secondaires :**

1. Décrire la réponse au traitement par fostamatinib en vie réelle pour un PTI secondaire à une connectivite et/ou à un SAPL.
2. Décrire l'évolution de la maladie associée sous fostamatinib

**Critères d'inclusion :**

- Patient adulte  $\geq$  18 ans
- PTI selon les critères internationaux<sup>3</sup>
- Initiation d'un traitement par fostamatinib (TAVLESSE) pour le PTI
- Un des diagnostics suivants :
  - SAPL (primaire ou secondaire) selon les critères de Sapporo 2006<sup>4</sup>
  - Lupus systémique selon les critères ACR/EULAR 2019<sup>5</sup>
  - Syndrome de Sjögren selon les critères ACR/EULAR 2016<sup>6</sup>
  - Sclérodémie systémique selon les critères ACR/EULAR 2013<sup>7</sup>
  - Connectivite mixte selon les critères de SHARP 1987<sup>8</sup>
  - Connectivite indifférenciée : aucun des critères précédents et présence de manifestations autoimmunes attribuées à une connectivite par le clinicien

**Modalités d'inclusion :**

Après information du patient et remise de la notice d'information, un CRF anonyme sera rempli par l'investigateur et les données seront conservées au sein du registre CARMEN France.

**Contact investigateur :**

Dr Etienne Crickx

Hôpital Henri Mondor, APHP, Créteil, France

[etienne.crickx@aphp.fr](mailto:etienne.crickx@aphp.fr)

**Références :**

1. Provan D, Arnold DM, Bussel JB, et al. Updated international consensus report on the investigation and management of primary immune thrombocytopenia. *Blood Adv.* 2019;3(22):3780–3817.
2. Moulis G, Michel M, Bonnotte B, et al. The CARMEN-France registry of adult patients with immune thrombocytopenia and autoimmune hemolytic anemia in France. *Rev Med Interne.* 2024;45(9):543–548.
3. Neunert C, Terrell DR, Arnold DM, et al. American Society of Hematology 2019 guidelines for immune thrombocytopenia. *Blood Adv.* 2019;3(23):3829–3866.

4. Miyakis S, Lockshin MD, Atsumi T, et al. International consensus statement on an update of the classification criteria for definite antiphospholipid syndrome (APS). *J Thromb Haemost.* 2006;4(2):295–306.
5. Aringer M, Costenbader K, Daikh D, et al. 2019 European League Against Rheumatism/American College of Rheumatology Classification Criteria for Systemic Lupus Erythematosus. *Arthritis Rheumatol.* 2019;71(9):1400–1412.
6. Shiboski CH, Shiboski SC, Seror R, et al. 2016 American College of Rheumatology/European League Against Rheumatism classification criteria for primary Sjögren’s syndrome: A consensus and data-driven methodology involving three international patient cohorts. *Ann Rheum Dis.* 2017;76(1):9–16.
7. van den Hoogen F, Khanna D, Fransen J, et al. 2013 classification criteria for systemic sclerosis: an American College of Rheumatology/European League against Rheumatism collaborative initiative. *Arthritis Rheum.* 2013;65(11):2737–2747.
8. Sharp GC. Diagnostic criteria for classification of MCTD. *Mixed connective tissue disease and anti-nuclear antibodies.* 1987;41–47.