



## Rheumatologie GKJR – AID

### FV 026

#### Langzeitsicherheit von Canakinumab bei Patienten mit autoinflammatorischen periodischen Fiebersyndromen – Interimsanalyse des RELIANCE-Registers

*Jasmin B. Kümmerle-Deschner<sup>1</sup>; Norbert Blank<sup>2</sup>; Jörg Henes<sup>3</sup>; Birgit Kortus-Götze<sup>4</sup>; Prasad T. Oommen<sup>5</sup>; Jürgen Rech<sup>6</sup>; Frank Weller-Heinemann<sup>7</sup>; Gerd Horneff<sup>8</sup>; Ales Janda<sup>9</sup>; Ivan Földvari<sup>10</sup>; Catharina Schütz<sup>11</sup>; Frank Dressler<sup>12</sup>; Michael Borte<sup>13</sup>; Markus Hufnagel<sup>14</sup>; Axel Braner<sup>15</sup>; Florian Meier<sup>16</sup>; Michael Fiene<sup>17</sup>; Julia Weber-Arden<sup>18</sup>; Tilmann Kallinich<sup>19</sup>*

<sup>1</sup>Universitätsklinikum Tübingen, Universitätsklinik für Kinder- und Jugendmedizin, Pädiatrische Rheumatologie, Tübingen, Germany; <sup>2</sup>Universitätsklinikum Heidelberg, Sektion Rheumatologie, Heidelberg, Germany; <sup>3</sup>Universitätsklinikum Tübingen, Medizinische Klinik II, Bereich Rheumatologie, Tübingen, Germany; <sup>4</sup>Universitätsklinikum Marburg, Klinik für Nephrologie und Transplantationsmedizin, Marburg, Germany; <sup>5</sup>Heinrich-Heine-Universität Düsseldorf, Klinik für Pädiatrische Hämatologie, Onkologie und Klinische Immunologie, Düsseldorf, Germany; <sup>6</sup>Friedrich-Alexander Universität (FAU) Erlangen-Nürnberg and Universitätsklinikum Erlangen, Abteilung für Innere Medizin 3 - Rheumatologie und Immunologie, Erlangen, Germany; <sup>7</sup>Klinikum Bremen-Mitte, Prof. Hess Kinderklinik Bremen, Pädiatrische Immunologie, Bremen, Germany; <sup>8</sup>Asklepios Klinik Sankt Augustin GmbH, Asklepios Klinik Sankt Augustin GmbH, Sankt Augustin, Germany; <sup>9</sup>Universitätsklinikum Ulm, Klinik für Kinder- und Jugendmedizin, Ulm, Germany; <sup>10</sup>Hamburger Zentrum für Kinder- und Jugendrheumatologie, Hamburger Zentrum für Kinder- und Jugendrheumatologie, Hamburg, Germany; <sup>11</sup>Technische Universität Dresden, Medizinische Fakultät Carl Gustav Carus, Bereich Pädiatrische Immunologie, Dresden, Germany; <sup>12</sup>Medizinische Hochschule Hannover, Klinik für Pädiatrische Pneumologie, Allergologie und Neonatologie, Hannover, Germany; <sup>13</sup>Klinikum Sankt Georg, ImmunoDeficiencyCenter Leipzig (IDCL), Leipzig, Germany; <sup>14</sup>Universitätsklinikum Freiburg, Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Abteilung für Pädiatrische Infektiologie und Rheumatologie, Freiburg, Germany; <sup>15</sup>Universitätsklinikum Frankfurt a.M., Medizinische Klinik II/Rheumatologie, Frankfurt, Germany; <sup>16</sup>Universitätsklinikum Frankfurt a.M., Medizinische Klinik II/Rheumatologie und Fraunhofer Institut für Molekulare Biologie und Angewandte Ökologie IME, Projektgruppe Translationale Medizin und Pharmakologie TMP, Frankfurt, Germany; <sup>17</sup>Kreiskrankenhaus Demmin, Abteilung für Innere Medizin, Demmin, Germany; <sup>18</sup>Novartis Pharma GmbH, Nürnberg, Germany; <sup>19</sup>Charité Universitätsmedizin Berlin, Klinik für Pädiatrie mit Schwerpunkt Pneumologie, Immunologie und Intensivmedizin, Berlin, Germany

#### Zielsetzung

Autoinflammatorische periodische Fiebersyndrome (PFS) sind durch schwere systemische und Organentzündungen gekennzeichnet. In klinischen Studien wurde eine erfolgreiche Behandlung mit dem Interleukin-1 $\beta$ -Inhibitor Canakinumab (CAN) erreicht. Die vorliegende Studie untersucht die langfristige Wirksamkeit und Sicherheit von CAN unter klinischen Routinebedingungen bei pädiatrischen (Alter  $\geq 2$  Jahre) und erwachsenen Patienten mit CAPS (Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome), FMF (familiäres Mittelmeerfieber), TRAPS (Tumornekrosefaktor-Rezeptor-assoziiertes periodisches Syndrom) und HIDS/MKD (Hyperimmunoglobulinämie-D-Syndrom/Mevalonatkinase-Mangel).

#### Methoden

RELIANCE ist eine prospektive, nicht-interventionelle Beobachtungsstudie in Deutschland. Eingeschlossen werden Patienten mit klinisch gesicherter Diagnose eines PFS, die routinemäßig mit CAN behandelt werden. Neben Wirksamkeitsparametern bezüglich Krankheitsaktivität und

# Kongress für Kinder- und Jugendmedizin 2021

## Abstracts der Gesellschaft für Kinder- und Jugendrheumatologie (GKJR)

Remission wurden Sicherheitsparameter zu Beginn der Studie erfasst und in 6-monatigen Abständen bewertet.

### Ergebnisse

Wir stellen die Interimsdaten von 168 Patienten mit PFS vor, die zwischen Oktober 2017 und Dezember 2020 in das RELIANCE-Register aufgenommen wurden. Das mittlere Alter in dieser Kohorte betrug 24,7 Jahre (2–79 Jahre) und der Anteil der weiblichen Patienten lag bei 51%. Zur Baseline betrug die mediane Dauer der vorherigen CAN-Behandlung 3 Jahre (0–12 Jahre).

Bei insgesamt 101 Patienten (60%) traten unerwünschte Ereignisse auf und 22 Patienten waren von schwerwiegenden UE (SUE) betroffen. Von 489 SUE waren 53 schwerwiegend, wovon 13 SUE Infektionen der oberen Atemwege betrafen. 21 SUE wurden als therapiebedingt eingestuft (bei 5% (n=9) der Patienten) mit Inzidenzraten pro 100 Patientenjahre (IR) zwischen 0,4 und 1,1: Alport-Syndrom, Appendizitis, Blasen, kardiovaskuläre Erkrankung, Brustschmerzen, Kreislaufkollaps, Erythem, Fieberkrämpfe, Glomerulonephritis, Hämophilus-Test positiv, Lungenentzündung, Frühgeburt, Hautverfärbung, Tonsillitis bakteriell, Tonsillitis Streptokokken (je n=1 Ereignis, IR 0,4), Tonsillektomie (n=2, IR 0,7), Pyrexie (n=3, IR 1,1), noch nicht kodiert (Krankenhausaufnahme wegen Exsikkose bei Gastroenteritis, n=1, IR 0,4).

### Zusammenfassung

Die Interimsdaten der RELIANCE-Studie, der am längsten laufenden CAN-Registerstudie für autoinflammatorische periodische Fiebersyndrome, bestätigen die Sicherheit der Langzeitbehandlung mit CAN in der gesamten Studienpopulation.

