

# Kongress für Kinder- und Jugendmedizin 2021

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

### Rheumatologie GKJR – AID

#### PO 078

#### Langzeitwirksamkeit und -sicherheit von Canakinumab bei Patienten mit TRAPS (Tumornekrosefaktor-Rezeptor-1-assoziiertes periodisches Fiebersyndrom) – Interimsanalyse des RELIANCE-Registers

Jasmin B. Kümmerle-Deschner<sup>1</sup>; Norbert Blank<sup>2</sup>; Jörg Henes<sup>3</sup>; Prasad T. Oommen<sup>4</sup>; Catharina Schütz<sup>5</sup>; Michael Borte<sup>6</sup>; Julia Weber-Arden<sup>7</sup>; Tilmann Kallinich<sup>8</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>Heinrich-Heine-Universität Düsseldorf, Klinik für Pädiatrische Hämatologie, Onkologie und Klinische Immunologie, Düsseldorf, Germany; <sup>5</sup>Technische Universität Dresden, Medizinische Fakultät Carl Gustav Carus, Bereich Pädiatrische Immunologie, Dresden, Germany; <sup>6</sup>Klinikum Sankt Georg, ImmunoDeficiencyCenter Leipzig (IDCL), Leipzig, Germany; <sup>7</sup>Novartis Pharma GmbH, Nürnberg, Germany; <sup>8</sup>Charité Universitätsmedizin Berlin, Klinik für Pädiatrie mit Schwerpunkt Pneumologie, Immunologie und Intensivmedizin, Berlin, Germany

#### Zielsetzung:

Das Tumornekrosefaktor-Rezeptor-1-assoziierte periodische Fiebersyndrom (TRAPS) ist eine seltene autoinflammatorische Erkrankung, die durch schwerwiegende systemische und Organentzündung gekennzeichnet ist. Im Rahmen der Phase-3-Zulassungsstudie *CLUSTER* wurden TRAPS-Patienten erfolgreich mit dem Interleukin-1 $\beta$ -Inhibitor Canakinumab (CAN) behandelt. 45% der Patienten erreichten nach 16 Wochen eine klinische Remission (primärer Endpunkt) [1]. CAN ist seit 2017 zugelassen und im Einsatz für die Behandlung von TRAPS-Patienten [2]. Die vorliegende Studie untersucht die Langzeitwirksamkeit und -sicherheit von CAN unter Routinebedingungen der klinischen Praxis bei pädiatrischen ( $\geq 2$  Jahre) und erwachsenen TRAPS-Patienten.

#### Methode:

RELIANCE ist eine in Deutschland durchgeführte, prospektive, nicht-interventionelle, multizentrische Observationsstudie. Eingeschlossen werden Patienten mit klinisch bestätigter TRAPS-Diagnose, die routinemäßig CAN erhalten. Zur Baseline und in 6-monatigen Intervallen erfolgt die Evaluation der Sicherheit und Wirksamkeit von CAN mittels klinischer Daten, Arzt- und Patientenberichteter Krankheitsaktivität.

#### Ergebnisse:

Die Interimsanalyse von 16 TRAPS-Patienten, die bis Dezember 2020 eingeschlossen wurden (ein Patient mit atypischem TRAPS), beinhaltet Baseline-Daten und vorläufige 18-Monatsdaten. 11 Patienten (69%) waren weiblich. Das mediane Alter zur Baseline lag bei 23 Jahren (3–43 Jahre), die mediane Dauer der vorherigen CAN-Therapie bei 1 Jahr (0–4 Jahre). 10 Patienten (62.5%) waren mit Anakinra vorbehandelt und ein Patient (6.3%) mit Tocilizumab. Gemäß Arzteinabschätzung befanden sich 60% (Baseline) bis 80% (18-Monatsvisite) der Patienten in Remission und gemäß PGA (*physician global assessment*) 40% der Patienten zur Baseline und 80% zur 18-Monatsvisite ohne Krankheitsaktivität. Die Patientenbewertung der aktuellen Krankheitsaktivität (VAS 0–10, median) sank von 1,5 (Baseline) auf 0 (18-Monatsvisite). 50% der Patienten gaben allerdings an, in ihrem Sozialleben durch die Krankheit beeinträchtigt zu sein. Die Labor-





parameter CRP und SAA befanden sich zu jedem Zeitpunkt im Normbereich. Insgesamt traten 7 unerwünschte Ereignisse auf, von denen keines als schwerwiegend oder therapie-bedingt eingestuft wurde.

**Zusammenfassung:**

Die Baseline-Charakteristika und Interimsdaten der TRAPS-Patienten in der RELIANCE-Studie weisen auf einen sicheren und effektiven Einsatz von CAN bei TRAPS hin. Weitere Interims- und Studienendergebnisse werden analysiert, um die Wirksamkeit und Sicherheit der Langzeit-CAN-Therapie bei diesen Patienten zu evaluieren.

[1] De Benedetti F, et al. Canakinumab for the treatment of autoinflammatory recurrent fever syndromes. *N Engl J Med* 2018;378:1908–19.

[2] Ilaris, INN-canakinumab ([europa.eu](http://europa.eu))