

# Kongress für Kinder- und Jugendmedizin 2021

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

### Rheumatologie GKJR – AID

#### PO 079

#### Langzeitwirksamkeit und -sicherheit von Canakinumab bei Patienten mit HIDS (Hyper IgD-Syndrom) – Interimsanalyse des RELIANCE-Registers

*Jasmin B. Kümmerle-Deschner<sup>1</sup>; Tilmann Kallinich<sup>2</sup>; Jürgen Rech<sup>3</sup>; Norbert Blank<sup>4</sup>; Julia Weber-Arden<sup>5</sup>; Prasad T. Oommen<sup>6</sup>*

<sup>1</sup>Universitätsklinikum Tübingen, Universitätsklinik für Kinder- und Jugendmedizin, Pädiatrische Rheumatologie, Tübingen, Germany; <sup>2</sup>Charité Universitätsmedizin Berlin, Klinik für Pädiatrie mit Schwerpunkt Pneumologie, Immunologie und Intensivmedizin, Berlin, Germany;

<sup>3</sup>Friedrich-Alexander Universität (FAU) Erlangen-Nürnberg and Universitätsklinikum Erlangen, Abteilung für Innere Medizin 3 - Rheumatologie und Immunologie, Erlangen, Germany;

<sup>4</sup>Universitätsklinikum Heidelberg, Sektion Rheumatologie, Heidelberg, Germany; <sup>5</sup>Novartis Pharma GmbH, Nürnberg, Germany; <sup>6</sup>Heinrich-Heine-Universität Düsseldorf, Klinik für Pädiatrische Hämatologie, Onkologie and Klinische Immunologie, Düsseldorf, Germany

#### Zielsetzung:

Periodische Fiebersyndrome wie HIDS/MKD (Hyper-IgD-Syndrom/Mevalonat-Kinase-Defizienz) sind seltene autoinflammatorische Erkrankungen, die durch schwerwiegende systemische und Organentzündungen charakterisiert sind. Eine erfolgreiche Therapie mit schneller Remission der Symptome und Normalisierung der Laborparameter konnte bei den meisten Patienten mit dem Interleukin-1 $\beta$ -Inhibitor Canakinumab (CAN) sowohl in klinischen Studien [1] als auch in der klinischen Routine erzielt werden. CAN ist seit 2017 für die Behandlung von HIDS/MKD-Patienten zugelassen [2]. Die vorliegende Studie untersucht die Langzeitwirksamkeit und -sicherheit von CAN unter Routinebedingungen der klinischen Praxis bei pädiatrischen ( $\geq 2$  Jahre) und erwachsenen HIDS/MKD-Patienten.

#### Methode:

RELIANCE ist eine in Deutschland durchgeführte, prospektive, nicht-interventionelle, multizentrische Observationsstudie mit einer 3-jährigen *Follow-up*-Periode. Eingeschlossen werden Patienten mit klinisch bestätigter HIDS/MKD-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 Patienten-berichteter Krankheitsaktivität.

#### Ergebnisse:

Die Interimsanalyse der HIDS/MKD-Patienten, die bis Dezember 2020 eingeschlossen wurden, beinhaltet Baseline-Daten von 7 Patienten, vorläufige 6-Monatsdaten von 6 Patienten und vorläufige 12-Monatsdaten von 4 Patienten. Das mediane Alter zur Baseline lag bei 7 Jahren (2–39 Jahre), 4 Patienten (57%) waren weiblich. Die mediane Dauer der vorherigen CAN-Therapie betrug 2 Jahre (0–5 Jahre). Zur Baseline / 6-Monatsvisite / 12-Monatsvisite waren laut Arztbeurteilung 57/83/75 % der Patienten in Remission und 43/83/75 % der Patienten ohne nachweisbare Krankheitsaktivität. Die Patientenbeurteilung der aktuellen Krankheitsaktivität (median, VAS 1–10) betrug zur Baseline / 6-Monatsvisite / 12-Monatsvisite 0/1/0,5, die der Fatigue (median, VAS 1–10) 2/1,5/2,5. Der Anteil der Patienten ohne Beeinträchtigung ihres Soziallebens durch die Erkrankung stieg von 40% zur Baseline auf 100% zur 12-Monatsvisite. Die Laborparameter (c-reaktives Protein und Serum Amyloid A) befanden sich zu jedem Zeitpunkt im Normalbereich. 3 Patienten erlitten therapiebedingte unerwünschte Ereignisse auf, von denen keines als schwerwiegend eingestuft wurde.





**Zusammenfassung:**

Die Baseline-Charakteristika und Interimsdaten der HIDS/MKD-Patienten in der RELIANCE-Studie weisen auf eine gute Krankheitskontrolle anhand der klinischen und der Laborparameter hin. Im Rahmen der 12-Monats-Interimsanalyse traten keine unerwarteten Sicherheitsaspekte auf.

[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)