



ELPOT

Evaluation de l'ELtrombopag en Péri-Opératoire lors de chirurgies et actes invasifs programmés chez les patients ayant une Thrombopénie constitutionnelle

Sophie VOISIN & Aurélie SEMET

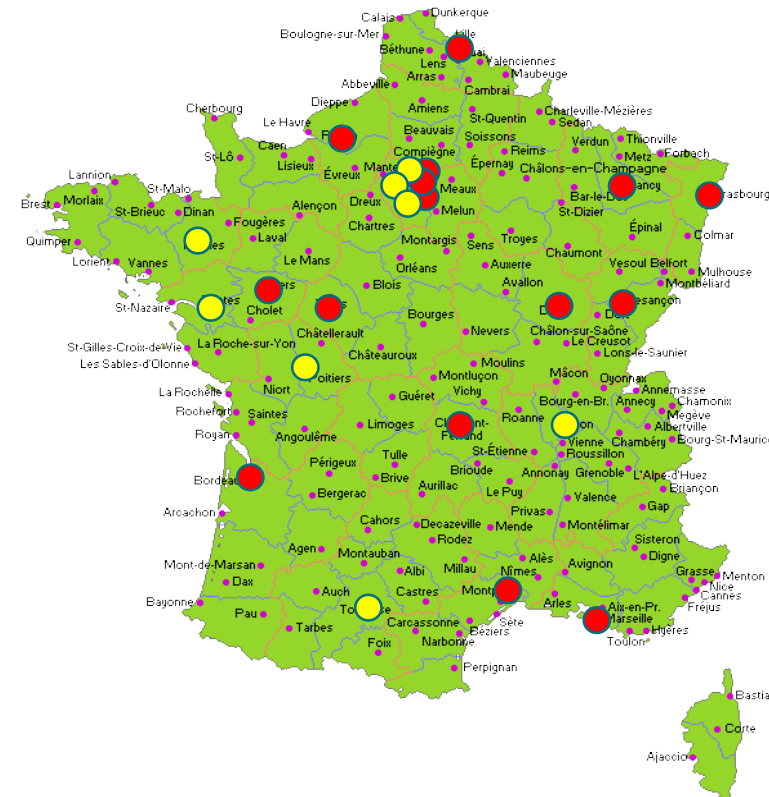
Site constitutif CRPP Toulouse

| Lundi 17/03/2025



ELPOT design (Pr P. Sié)

- PHRCn 2017
- Promoteur CHU de Toulouse RC31/16-8913 - NCT03638817
- Etude prospective, multicentrique, sans comparateur, en ouvert
- Centre Coordonnateur : Toulouse
- Eltrombopag : NOVARTIS
- 23 centres investigateurs
- 25 patients à inclure
- Début des inclusions : août 2019
- Fin des inclusions : août 2023



ELPOT objectif – patients concernés

- **Objectif principal :**

estimer la réponse à l'Eltrombopag, sur la base de la correction de la numération plaquettaire, combinée à la possibilité de réaliser des actes invasifs à risque hémorragique modéré ou élevé sans recourir aux transfusions de CP.

- **Patients concernés :**

**thrombocytopénie chronique constitutionnelle,
de 6 à 75 ans,
intervention chirurgicale ou procédure invasive programmée avec
risque de saignement anticipé avec nécessité d'utiliser de
transfusions CP en prophylaxie.**

ELPOT : Déroulement de l'étude



- **Séquence thérapeutique**

- **Inclusion : Eltrombopag 50 mg/j (traitement 2 semaines)**
- **V2 ajustement posologie (poursuite traitement 2 semaines)**
 - < 50 G/L : dose augmentée à 75 mg/j
 - 50-150 G/L : dose inchangée 50 mg/j
 - > 150-200 G/L : réduction à 25 mg/j
 - > 200 G/L : arrêt du traitement

Centre	N° du patient	Age	Sexe	Pathologie	Plt inclusion <80G/L	plt avant procédure >80G/L	Dose max ELT (mg/j)	Type de procédure	Procédure réalisée	Procédure sans CP	Commentaires	
Kremlin Bicêtre	04-01	59	M	MYH9	55	89	75	PB rein greffé + hernie inguino-scrotale	oui	oui		
Nantes	13-01	21	F	MYH9	76	122	50	Avulsions dents de sagesse	oui	Oui		
Hôpital Cochin	08-01	37	M	MYH9	39	92	50	Exérèse polype nasal + PB rénale	oui	oui (+ATX)		
Robert Debré	06-01	27	F	MYH9	57	75	50	Avulsions dentaires	oui	oui (+ATX)		
Robert Debré	06-02	50	F	MYH9	54	112	50	Acromioplastie sous arthroscopie	oui	oui		
Hôpital Cochin	08-02	52	M	XLT	47	71	50	Coloscopie sans résection	oui	oui		
Toulouse	01-01	49	M	XLT	38	95	50	Avulsions dentaires	oui	oui		
Kremlin Bicêtre	04-02	22	F	GPS	53	85	50	Exérèse de kyste ovarien (coelioscopie)	oui	oui	OUI (refus de poursuivre)	
Toulouse	01-10	10	M	CAMT	36	43	75	Chirurgie d'abaissement testiculaire	oui	NON		
Rennes	18-01	12	F	Diag. indéterminé	17	47	/	Avulsions 4 prémolaires	NON	NA	OUI (procédure annulée pandémie)	
<u>Rennes</u>	18-02	12	F	Diag. indéterminé	26	37	75	Avulsions 4 prémolaires	oui	oui (+ATX)	Patient 18-01 réinclus avec accord promoteur	
Lyon	02-01	29	F	Diag. indéterminé	<10	<10	75	Avulsions 4 dents de sagesse	NON	NA	OUI (procédure annulée pandémie)	
Poitiers	16-01	14	M	Diag. indéterminé	8	28	50	Soins dentaires	oui	NON (+ATX)		
Moyenne (SD)					45,56	80,67 (30,7)	50					
Médiane (25-75p)		528 (10-58)				47 (38-55)	89 (72-95)					

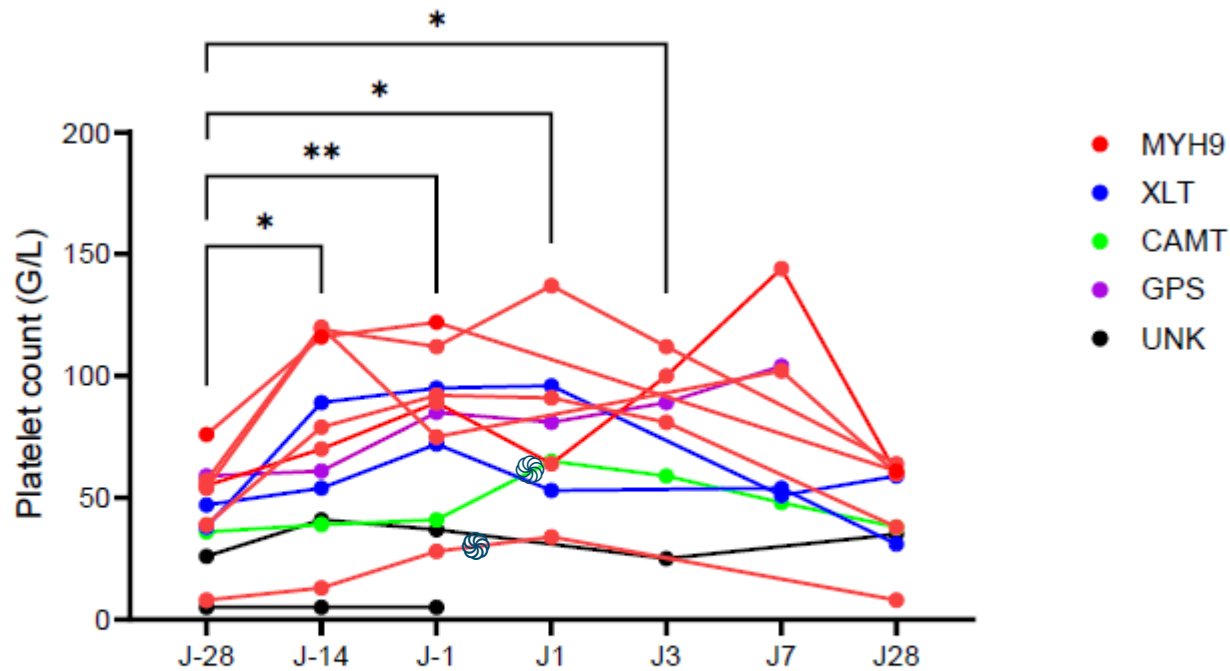


Figure 1: Platelet count variation during ELT treatment.

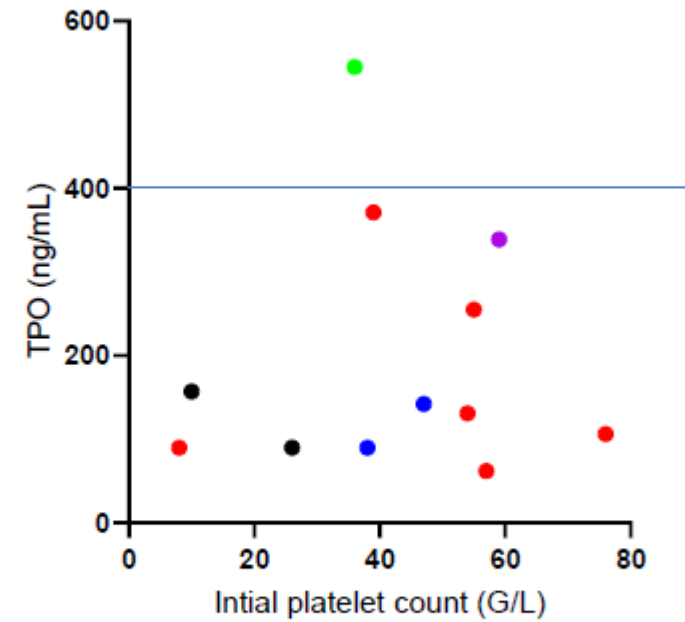


Figure 2: Pre-treatment TPO concentration and initial platelet count

transfusion de CP

Conclusion : efficacité du traitement, pas EIG
 Nombre de patients de l'étude est néanmoins faible

ELPOT à ARTIC : Etude rétrospective des modalités d'utilisation d'Agonistes du Récepteur à la Thrombopoïétine (ARTPO) chez les patients atteints de Thrombopénie Constitutionnelle (TC)

- **Étude observationnelle rétrospective 1 an.**
- **Objectif principal** : Évaluation en vie réelle, de l'efficacité des ARTPO disponibles en France (**eltrombopag** ou **romiplostim**) pour **encadrer un acte invasif ou en cas d'épisode hémorragique chez des patients porteurs de TC.**
- **Population** : enfants et adultes, quel que soit l'âge
- **Objectifs secondaires** :

Évaluer la sécurité des ARTPO.

Le taux basal de TPO endogène plasmatique est-il un biomarqueur prédictif de l'efficacité des ARTPO.

ARTIC

- MR004
- **Les critères de jugement d'efficacité seront :**
 - la présence de saignement au cours du geste ou l'aggravation du saignement en cas d'ARTPO prescrit pour un saignement
 - la différence entre la numération plaquettaire entre le début de l'ARTPO et le contrôle (avant geste, suivi)
 - la nécessité de recours à une transfusion de CP.
- **Contacts : CRPP, CEREVANCE, SHIP...**
- **Envoi conventions en mars**





Merci !

voisin.s@chu-toulouse.fr
semet.a@chu-toulouse.fr

CRITERES DE NON-INCLUSION

- 1) Origine constitutionnelle douteuse : 0-Non 1-Oui
- 2) Association à un déficit fonctionnel plaquettaire établi : 0-Non 1-Oui
- 3) Antécédents personnels d'événements thromboemboliques artériels ou veineux ou de thrombophilie familiale connue : 0-Non 1-Oui
- 4) Hépatite chronique ou cirrhose, avec insuffisance hépatique modérée ou sévère (score Child-Pugh \geq 5) : 0-Non 1-Oui

- 5) Taux d'alanine aminotransferase (TGP) ou de bilirubine :

Si date d'inclusion inférieur au 20/10/2022 critère a

- a) Taux d'alanine aminotransferase(TGP) ou de bilirubine > 2 fois la limite normale supérieure du laboratoire : 0-Non 1-Oui 9-NA
Version 4.0 du 20/10/2020

Si date d'inclusion supérieure au 20/10/2022 critère b

- b) Taux d'alanine aminotransferase (TGP) ou de bilirubine
- Pour les patients atteints de MYH9-RD :
taux d'alanine aminotransférase (ALT) ou de bilirubine \geq 4 fois la limite normale supérieur de laboratoire
 - Pour les autres patients (non MYH9-RD) :
taux d'alanine aminotransférase (ALT) ou de bilirubine \geq 2 fois la limite normale supérieur de laboratoire
- 0-Non 1-Oui 9-NA
Version 5.0 du 20/10/2022

Listing des patients avec un ou plusieurs évènements indésirables (population sécurité)

Num. du patient	Date de début	Date de fin	System Organ Class label	Preferred Term label	Evènement	Gravité	Imputabilité	Evolution
101	17/12/2020	18/12/2020	AFFECTIONS DU SYSTÈME NERVEUX	CÉPHALÉE	CEPHALEES PEU INTENSES	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
110	07/05/2023	29/05/2023	LÉSIONS, INTOXICATIONS ET COMPLICATIONS D'INTERVENTIONS	HÉMATOME TRAUMATIQUE	HEMATOME POST TRAUMA	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
110	ND/06/2023		INFECTIONS ET INFESTATIONS	RHINITE	RHINITE	Non grave	Aucune relation	En cours d'amélioration
201						.	.	.
401	28/08/2019	24/09/2019	AFFECTIONS DU SYSTÈME NERVEUX	CÉPHALÉE	CEPHALEES	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
401	12/09/2019	24/09/2019	TROUBLES GÉNÉRAUX ET ANOMALIES AU SITE D'ADMINISTRATION	DOULEUR	DOULEURS	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
401	12/09/2019	24/09/2019	LÉSIONS, INTOXICATIONS ET COMPLICATIONS D'INTERVENTIONS	INFLAMMATION AU SITE D'INCISION	INFLAMMATION LOCALE POST-CHIRURGIE	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
402	13/10/2021	NK/10/2021	AFFECTIONS GASTRO-INTESTINALES	DOULEUR ABDOMINALE	DOULEUR AU VENTRE (SUITE A UN COUP DE PIED DE SA FILLE)	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
601	13/02/2022	21/02/2022	AFFECTIONS MUSCULOSQUELETTIQUES ET DU TISSU CONJONCTIF	DOULEUR OSSEUSE	DOULEURS OSSEUSES	Non grave	Possible	Guérison sans séquelles
601	16/02/2022	18/02/2022	AFFECTIONS DU SYSTÈME NERVEUX	CÉPHALÉE	CEPHALEES	Non grave	Possible	Guérison sans séquelles
602						.	.	.
801	20/09/2021	24/09/2021	INFECTIONS ET INFESTATIONS	INFECTION LOCALISÉE	INFECTION LOCALE CICATRICE DE L'EXERESE DU BOTRYOMYCOME (ANTIBIOTHERAPIE)	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
802						.	.	.
1301						.	.	.
1601						.	.	.
1801	06/03/2020	06/03/2020	AFFECTIONS GASTRO-INTESTINALES	DOULEUR ABDOMINALE	DOULEURS ABDOMINALES	Non grave	Possible	Guérison sans séquelles
1802	14/07/2020	14/07/2020	TROUBLES DU MÉTABOLISME ET DE LA NUTRITION	HYPOGLYCÉMIE	HYPOGLYCEMIE	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
1802	19/07/2020	22/07/2020	TROUBLES GÉNÉRAUX ET ANOMALIES AU SITE D'ADMINISTRATION	ASTHÉNIE	ASTHENIE	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles
1802	20/07/2020	24/07/2020	AFFECTIONS MUSCULOSQUELETTIQUES ET DU TISSU CONJONCTIF	GÊNE DANS UN MEMBRE	LOURDEUR MEMBRES INFÉRIEURS	Non grave	Aucune relation	Guérison sans séquelles