

Les Nouvelles du Myélome : De l'Islande à la Chine

Le 09 février 2023

Cette semaine, il y a plusieurs nouvelles merveilleuses liées au myélome qui méritent d'être partagées. De l'Islande à la Chine, en voici les grandes lignes.

Le projet Islandais iStopMM Publié Dans "Nature Medicine"

Il y a d'excellentes nouvelles pour le projet iStopMM (Iceland Screens Treats or Prevents Multiple Myeloma) en Islande soutenu par l'IMF et dirigé par le chercheur principal, le Dr Sigurdur Y. Kristinsson (professeur d'hématologie, Université d'Islande - Reykjavík, Islande).

Un nouveau rapport documentant pour la première fois la prévalence (occurrence) du myélome indolent (SMM) dans une population examinée vient d'être publié dans le prestigieux journal mensuel [Nature Medicine](#).

Cette publication est très importante pour le projet iStopMM et pour la communauté du myélome dans son ensemble.

Comme l'a noté l'auteur principal de l'étude, Sigrún Thorsteinsdóttir (Université d'Islande - Reykjavík, Islande) : « Nous sommes fiers de signaler la prévalence du myélome multiple indolent (SMM)... Il est important de noter que même si les deux tiers des patients ont un faible risque de progression vers le myélome multiple, nous montrons dans cette étude de dépistage que le dépistage peut identifier [le reste ou un tiers des] candidats possibles à un traitement précoce... [et des approches curatives potentielles]. »

Une prévalence élevée inattendue

L'une des principales forces de l'étude iStopMM est de pouvoir dépister plus de 75 000 personnes de la population islandaise. La prévalence du SMM était de 0,5 % chez les personnes âgées de 40 ans ou plus, soit plus que ce qui était prévu. La prévalence augmentait avec l'âge, avec 1,1 % chez les personnes âgées de 70 ans ou plus et 1,6 % chez les personnes

âgées de 80 ans ou plus. L'âge médian des personnes ayant reçu un diagnostic de SMM est de 70 ans, conformément aux rapports précédents.

Il est à noter que tous les patients atteints de SMM de cette cohorte dépistée avaient > 10 % de plasmocytes dans la moelle osseuse. **Cela peut être l'indicateur clé de la maladie au-delà du stade de la gammopathie monoclonale de signification indéterminée (MGUS)— une découverte importante car il existe une telle discordance dans les modèles de risque clinique [20/20/20](#) et [PETHEMA](#) ([Programa para el Tratamiento de Hemopatías Malignas](#)) pour le SMM.**

Les auteurs tiennent à souligner que le projet iStopMM a produit des résultats très encourageants, démontrant la valeur du dépistage en population. Cependant, toute recommandation forte visant à mettre en œuvre un dépistage systématique de la MGUS et du SMM doit attendre les résultats de l'essai randomisé qui évalue la survie et la qualité de vie.

En outre, nous avons besoin de meilleures stratégies axées sur la biologie afin de mieux évaluer le risque de progression pour chaque patient.

Conclusion

Néanmoins, il y a un grand optimisme à propos de l'émergence de nombreuses approches novatrices qui conduiront à de meilleurs résultats pour les personnes dépistées, en particulier celles qui présentent un SMM à haut risque. Comme l'ont montré les rapports de l'ASH, de nombreux autres projets sont en cours dans le cadre de l'iStopMM et de nombreuses publications supplémentaires sont prévues dans les mois à venir. C'est une période passionnante pour ce projet de dépistage unique.

Le produit CAR T Chinois (GC012F) Reçoit l'Autorisation de la FDA Pour Sa Demande de IND

Dans un communiqué de presse, Gracell Biotechnologies a [récemment annoncé](#) qu'elle avait reçu l'autorisation de la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis pour sa demande de nouveau médicament de recherche (IND) afin de commencer un essai clinique de phase 1b/2 pour le traitement du myélome multiple récidivant/réfractaire (RRMM).

« GC012F est un candidat thérapeutique CAR-T autologue qui cible doublement l'antigène de maturation des cellules B (BCMA) et CD19, et qui utilise la plateforme de fabrication du jour suivant, FasTCAR de Gracell... GC012F est actuellement étudié dans le cadre de plusieurs essais initiés par des investigateurs (IIT) qui évaluent sa sécurité et son efficacité dans le traitement du RRMM, du myélome multiple nouvellement diagnostiqué et du lymphome non hodgkinien à cellules B. Lors du Congrès hybride 2022 de l'Association européenne d'hématologie, Gracell a présenté des données cliniques de suivi à plus long terme du GC012F dans le RRMM qui ont montré un taux de négativité de la maladie résiduelle minimale (MRD) de 100% chez tous les patients traités », selon le communiqué de presse de Gracell.

GC012F est une approche CAR T unique développée et déjà testée en Chine. Il convient de noter que le GC012F a reçu [la Désignation de Médicament Orphelin de la FDA](#) en novembre 2021.

GC012F cible simultanément l'agent de maturation des cellules B (BCMA) et un autre antigène, le CD 19. Le BCMA est largement exprimé sur les cellules du myélome et est ciblé par de nombreuses autres thérapies immunitaires.

Le CD 19 est exprimé sur des cellules plus immatures. On espère que cela englobe les cellules plus proches des cellules souches du myélome ou de l'origine du clone du myélome.

En outre, ce candidat CAR T autologue utilise FasTCAR, un processus de fabrication du jour suivant, développé par la société. La disponibilité rapide de ce produit CAR T est un développement très passionnant et accélérera l'accès des patients.

La communauté du myélome a pris connaissance de cette thérapie CAR T lors du congrès annuel de la Société Américaine d'Hématologie (ASH) en 2022, dont j'ai parlé dans mon [précédent blog](#) ainsi que dans la [Série de Conférences Post-ASH](#). Les résultats de l'étude menée chez des patients atteints de myélome à haut risque de première ligne ont été présentés par Juan Du, MD, PhD, directeur du département d'hématologie de l'hôpital Changzheng de l'université de médecine navale à Shanghai, en Chine. Le Dr Juan Du est également un investigateur du Groupe de Travail International de Myélome (IMWG) et membre du Comité des Thérapies Immunitaires de l'IMF.

Le produit s'est avéré bien toléré dans la cohorte initiale de 17 patients, dont 100 % ont obtenu un résultat négatif en termes de MRD— un résultat assez remarquable ! Cet essai continue de se développer alors que l'équipe attend l'approbation de la FDA en Chine.

Conclusion

Il s'agit d'une nouvelle approche CAR T encourageante. On attend avec impatience de nouveaux développements en Chine et aux États-Unis.