

# CAR T Opwinding en COVID-19-waarschuwingen

8 april 2021

## ABECMA

Zoals we hebben gemeld, is het echt opwindend dat de eerste anti-BCMA CAR T-celtherapie voor myeloom, Abecma, werd goedgekeurd door de Amerikaanse Food & Drug Administration. Deze zeer actieve nieuwe immuuntherapie is nu beschikbaar voor patiënten met recidiverend of refractair multipel myeloom die vier of meer eerdere therapielijnen hebben gekregen, waaronder een immunomodulerend middel, een proteasoomremmer en een anti-CD38 monoklonaal antilichaam. Abecma is alleen verkrijgbaar bij aangewezen centra in de VS.

Volgens nieuwsberichten hebben bluebird bio Inc. en Bristol Myers Squibb de groothandelsprijs voor Abecma vastgesteld op \$ 419.500. De contante uitgaven voor patiënten zullen echter hoogstwaarschijnlijk zeer beheersbaar zijn via een verscheidenheid aan betalingsvormen. Tegelijkertijd bracht het Institute for Clinical and Economic Review (ICER) een rapport uit met een veel lagere aanbevolen prijs, gebaseerd op een willekeurige toewijzing van \$ 150.000 per kwaliteit-jaar-van-leven, die een controversiële methodologie blijft.

Het valt nog te bezien hoe de uitrol van deze opwindende en belangrijke nieuwe therapieoptie verloopt. Wat heel duidelijk is, is dat voor patiënten het potentieel voor diepe en potentieel langdurige behandelingsvrije remissies buitengewoon aantrekkelijk is.

## • CARTITUDE-1 update

Aanvullende gegevens van de tweede anti-BCMA CAR T-celtherapie werden gepresenteerd op de virtuele 47e jaarlijkse bijeenkomst van de EBMT (European Society for Blood and Marrow Transplantation). Dit maakte deel uit van wat wordt genoemd een rollende indiening voor een biologische vergunningaanvraag ter ondersteuning van de goedkeuring van de op onderzoek gerichte BCMA-gerichte CAR T-celtherapie genaamd "cilta-cel" (ciltacabtagene autoleucel) voor de behandeling van recidiverend / refractair myeloom. Deze CAR T-celtherapie heeft een algemeen responspercentage van 96,9% opgeleverd met 67% stringente CR's, waarbij 33 patiënten MRD-negativiteit bereikten (57,9%). Met een toxiciteitsprofiel vergelijkbaar met dat van Abecma, is het geweldig om een tweede CAR T-celtherapie vooruit te laten gaan in het goedkeuringsproces. Er zijn nog geen datums vrijgegeven voor mogelijke beoordeling en goedkeuring van CARTITUDE-1-proefgegevens.

## COVID-19 waarschuwingen

### VACCINATIE UPDATE

Op 8 april 2021 zijn in de VS 171 miljoen COVID-19 vaccindoses toegediend, volgens de CDC COVID Data Tracker. Ongeveer 76% van de 65-plussers heeft ten minste één dosis vaccin gekregen en meer dan 56% is volledig gevaccineerd. Dit is echt geweldig nieuws en brengt ons steeds dichterbij een hoog niveau van immuniteit in gemeenschapsinstellingen. Een recent artikel in de New York Times, "Wat kunt u doen als u eenmaal bent ingeënt?", Biedt uitstekende richtlijnen over hoe u uw risico kunt inschatten wanneer gemeenschapsactiviteiten heropenen.

Hoewel alle vaccins veilig blijven, is er één waarschuwing met betrekking tot het AstraZeneca-vaccin met betrekking tot bloedstolsels. Hoewel zeldzaam, is er een zeer ongebruikelijke bloedstolling waargenomen in de hersenbijholten en in de bloedvaten die in verbinding staan met de milt in de buikstreek (geen typische gebieden voor bloedstolsels). Er waren 62 gevallen, voornamelijk bij vrouwen onder de 60 jaar en binnen 2 weken na vaccinatie. Hoewel dit niet voldoende is om vaccinaties te stoppen, is het een belangrijke waarschuwing voor gezondheidswerkers.

Voor myeloompatiënten is er een natuurlijke zorg dat vaccinatie met COVID-19 daadwerkelijk het myeloom (of zelfs MGUS of SMM) zou kunnen veroorzaken. Er zijn echter geen meldingen geweest van het uitlokken van myeloom of een onderliggende ziekte, hoewel er enige tijdelijke verhogingen van immunoglobuline- en / of lichte-ketenspiegels zijn waargenomen. Zorgvuldige tracking na vaccinatie wordt aanbevolen om er zeker van te zijn dat er geen grote impact is. IMF-personeelsleden, waaronder ons InfoLine-team, en leiders van de myeloomondersteuningsgroep zijn alert om op de hoogte te zijn van dergelijke opkomende problemen als ze zich voordoen en houden iedereen op de hoogte.

#### • VOORZICHTIG BLIJVEN

Naarmate de vaccins op de markt komen, blijven er nieuwe COVID-19-varianten opduiken. De B-117-variant, die zijn oorsprong vindt in het VK, is nu wijdverspreid in de VS en is duidelijk besmettelijker en gevaarlijker. Deze nieuwe virusstam, nu de meest voorkomende stam in de VS, wordt in verband gebracht met een toenemend aantal COVID-19-gevallen in vijf staten: New York, Michigan, Florida, Pennsylvania en New Jersey. Deze gevallen zijn goed voor 43% van alle nieuwe gevallen in de VS nu (196.400 gevallen van de 453.360 gevallen).

De laatste tijd doen zich nieuwe verspreidingspatronen voor waarbij jongere mensen en groepssportactiviteiten betrokken zijn. In een zeer trieste zaak in Minnesota raakte een myeloompatiënt geïnfecteerd nadat hij weer aan het werk was gegaan als jeugdhokeyscheidsrechter. Dit benadrukt de noodzaak voor myeloompatiënten om voorzichtig te blijven, zelfs als ze worden gevaccineerd. Antilichaamresponsniveaus kunnen laag zijn bij patiënten die lopende myeloomtherapie krijgen, en opkomende regionale COVID-19-varianten kunnen bijzonder gevaarlijk zijn. Blijf maskers dragen om blootstelling aan de gemeenschap te voorkomen.

Bovendien komen zogenaamde dubbele varianten voor in Californië, New York en waarschijnlijk elders. Deze lijken bijzonder gevaarlijk te zijn.

Het is ZO belangrijk om te beperken en te controleren wat momenteel het begin is van een vierde golf. Lokale "superspreiders" -evenementen kunnen optreden bij de heropening van indoorevenementen zoals sportpraktijken en stadionevenementen, waar virussen kunnen uitgroeien tot nieuwe varianten die iedereen in de gemeenschap bedreigen.

## Goed nieuws

Er worden aanvullende vaccins ontwikkeld voor breder gebruik, vooral buiten de VS Een nieuw vaccin heet NDV-HXP-S. Dit kan gemakkelijk worden gekweekt in kippeneieren, net als het griepvaccin, waardoor het veel goedkoper en wereldwijd toegankelijk is. Momenteel lopen er klinische proeven in Brazilië, Mexico, Thailand en Vietnam. De noodzaak om vaccins eerlijk over de hele wereld te verspreiden en COVID-19-infecties onder controle te houden, kan niet genoeg worden benadrukt.

#### ONDERZOEK TIJDENS DE PANDEMIE

Myeloomonderzoek blijft zeer actief tijdens de pandemie. Volgende week zal ik een aantal verbazingwekkende nieuwe myeloomonderzoeken onderzoeken die ons kunnen helpen dichter bij een genezing te komen. Deze week komt tot nadenken stemmend nieuws uit de wereld van de natuurkunde. Het zou een centrale vraag kunnen beantwoorden: "Is de ruimte leeg of is hij gevuld met donkere materie die een alternatieve realiteit is of een universum waar veel aan de hand is (wat belangrijk is voor ons om te weten)?"

Deze nieuwe onderzoeksresultaten suggereren dat een muon - dat lijkt op een elektron (onderdeel van alle atomen in ons lichaam) maar 207 keer zwaarder is met een magnetische spin - mogelijk een antwoord kan bieden. Dit is vooral spannend voor iedereen omdat de resultaten verblind waren om onbedoelde vertekening te voorkomen. Toen de coderingsenveloppen werden geopend, waren de onderzoekers stomverbaasd om het positieve resultaat te zien.

Het lijkt erop dat de muon reageert op iets in donkere materie dat echt revolutionair kan zijn: het eerste venster op een hele onzichtbare wereld om ons heen! (Ik beveel Frank Close's boek Antimaterie aan voor een korte blik op dit fascinerende onderwerp.) Om een praktisch voorbeeld te geven: PET-scanning, die veel myeloompatiënten hebben gehad, is het resultaat van een reactie tussen materie (het beenmerg) en antimaterie (ongezien). Hierdoor kunnen we de aanwezigheid van myeloom visualiseren.

Wie weet waar het nieuwe onderzoek naar muonen toe zal leiden?

#### AANBIDDELIJKE ROZE DOLFIJNEN KEREN TERUG

De prachtige roze dolfijnen in de haven van Hong Kong keren terug. Vanwege de pandemie is er veel lichtere veerbootactiviteit over het kanaal en waarschijnlijk minder vervuiling in de Parelvier die de haven binnenstroomt, wat resulteert in 30% of meer dolfijnen. De dolfijnen zijn roze omdat ze meer bloedvaten dicht bij de huid hebben, wat helpt om hun temperatuur te verlagen tijdens het zwemmen in warmer water.

Het is altijd geweldig om op zoek te gaan naar een zilveren voering (in dit geval roze!), Die ons kan helpen een positieve houding en veerkracht te behouden bij vele uitdagingen. Laten we gefocust blijven op het idee dat we samen door deze pandemie heen zullen komen. En met toenemende vaccinatie zal een hogere immuniteit van de gemeenschap ons allemaal gaan redden.