



20 - 5 - 2024

Arthritis
& R
rheumatology

Outcomes of Patients With Diffuse Systemic Sclerosis Eligible for Autologous Stem Cell Transplantation Treated With Conventional Therapy

Kate Gregory,¹ Dylan Hansen,² Ross Penglase,³ Diane Apostolopoulos,¹ Gene-Siew Ngian,¹ Wendy Stevens,² Kathleen Morrisroe,⁴ Nava Ferdowsi,² Laura Ross,⁵ Jennifer Walker,⁶ Helen Cooley,⁷ Peter Youssef,⁸ Kathleen Tymms,⁹ Lauren Host,¹⁰ Susanna Proudman,¹¹ John Moore,³ Mandana Nikpour,⁵ and Joanne Sahhar¹

Υπόβαθρο – Σκοπός

- Η μεταμόσχευση αυτόλογων αιμοποιητικών κυττάρων (autologous stem cell transplant, ASCT) συστήνεται ως θεραπεία σε ασθενείς με σοβαρή συστηματική σκληροδερμία (SSc) με βάση τις κλινικές δοκιμές [ASTIS](#) και [SCOT](#), ωστόσο σε πολλά κέντρα δεν είναι άμεσα διαθέσιμη και οι ασθενείς θεραπεύονται εναλλακτικά με συμβατικές θεραπείες
- Σκοπός της μελέτης ήταν η εκτίμηση της έκβασης ασθενών με SSc, οι οποίοι πληρούσαν κριτήρια ένταξης στις κλινικές δοκιμές για ASCT, και έλαβαν θεραπεία με συμβατικά ανοσοκατασταλτικά φάρμακα

Μέθοδοι

- Αναζητήθηκαν και συμπεριλήφθηκαν ασθενείς με SSc από την πολυκεντρική κοόρτη Australian Scleroderma Cohort Study (ASCS), οι οποίοι πληρούσαν κριτήρια ένταξης στις κλινικές δοκιμές Autologous Stem Cell Transplantation International Scleroderma (ASTIS) και Scleroderma: Cyclophosphamide Or Transplantation (SCOT)
- Υπολογίστηκε η επιβίωση ελεύθερη από σύμβαμα (event-free survival, EFS) στα 4 έτη
- Ως σύμβαμα ορίστηκε η καρδιακή, νεφρική ή πνευμονική ανεπάρκεια, ή ο θάνατος
- Αποκλείστηκαν από την ανάλυση ασθενείς της κοόρτης, οι οποίοι είχαν ήδη υποβληθεί σε ASCT

Αποτελέσματα

- Από τους 492 ασθενείς με διάχυτο SSc της κοόρτης ASCS, οι 56 πληρούσαν τα κριτήρια της ASTIS για την αυτόλογη μεταμόσχευση (56 από 492 [11.4%]) και 30 πληρούσαν αυτά της SCOT (30 από 492 [6.1%])
- Επιπρόσθετα, 11 ασθενείς πληρούσαν τα κριτήρια ένταξης της ASTIS ή SCOT, αλλά αποκλείστηκαν λόγω σοβαρών οργανικών εκδηλώσεων
- Η επιβίωση ελεύθερη συμβάματος στα 4 έτη στους ασθενείς της κοόρτης ASCS που πληρούσαν τα κριτήρια ένταξης της ASTIS ήταν 83.3% και σε όσους πληρούσαν τα κριτήρια της SCOT ήταν 81.2%
- Η επιβίωση ελεύθερη συμβάματος στα 4 έτη στους ασθενείς της κοόρτης ASCS που πληρούσαν τα κριτήρια ένταξης των ASTIS και SCOT, αλλά και τα κριτήρια αποκλεισμού, ήταν 46.7% και 45.7%, αντίστοιχα

Συμπεράσματα

- Οι ασθενείς με SSc που πληρούσαν τα κριτήρια ένταξης των κλινικών δοκιμών ASTIS και/ή SCOT και οι οποίοι δεν υποβλήθηκαν σε αυτόλογη μεταμόσχευση αιμοποιητικών κυττάρων, έχουν παρόμοια επιβίωση ελεύθερη συμβάματος στα 4 έτη με όσους μεταμοσχεύθηκαν, και καλύτερη από αυτούς που έλαβαν κυκλοφωσφαμίδη στις δοκιμές αυτές
- Τα αποτελέσματα αυτά δεν αποκλείεται να οφείλονται σε συγχυτικούς παράγοντες δύσκολο να ελεγχθούν (πχ. survivor bias), αλλά μπορεί και να υποδηλώνουν καλύτερη θεραπεία της SSc τα τελευταία έτη

Gregory K, et al. Arthritis Rheumatol 2024 Apr 1
doi: [10.1002/art.42850](https://doi.org/10.1002/art.42850)