



# Impact van ijzerchelatietherapie op overleving van patiënten met een laag-risico myelodysplastisch syndroom

**Marlijn Hoeks**

Hematoloog in Radboudumc

PhD student CCTR Sanquin Research Leiden



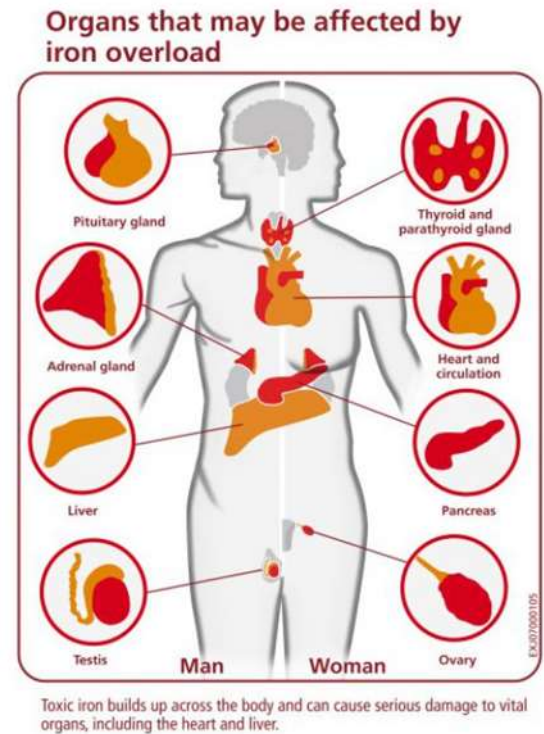
Persoonlijk: geen

EUMDS registry:

- Educational grant Novartis Pharmacy B.V. Oncology Europe
- Grant European Union's Horizon 2020 research and innovation programme



- Secundaire ijzerstapeling is geassocieerd met morbiditeit en mortaliteit in laag-risico MDS patiënten
  - Rode Bloedceltransfusies
  - Ineffectieve erythropoïese



- Waarde ijzerchelatietherapie onduidelijk in LR-MDS patiënten

Evaluëren impact van ijzerchelatietherapie op overleving bij laag-risico MDS patiënten



- Prospectieve collectie observationele data van LR-MDS patiënten in 142 centra in 17 landen
- Twee verschillende benaderingen:
  - Vergelijking met controlegroep
  - Propensity-score matching

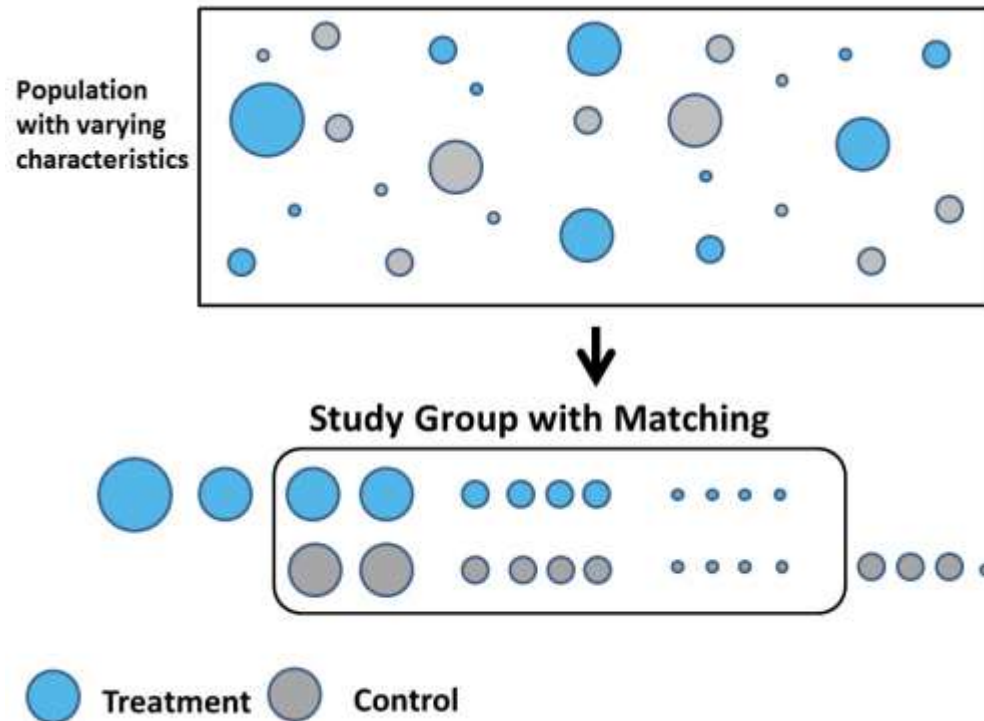


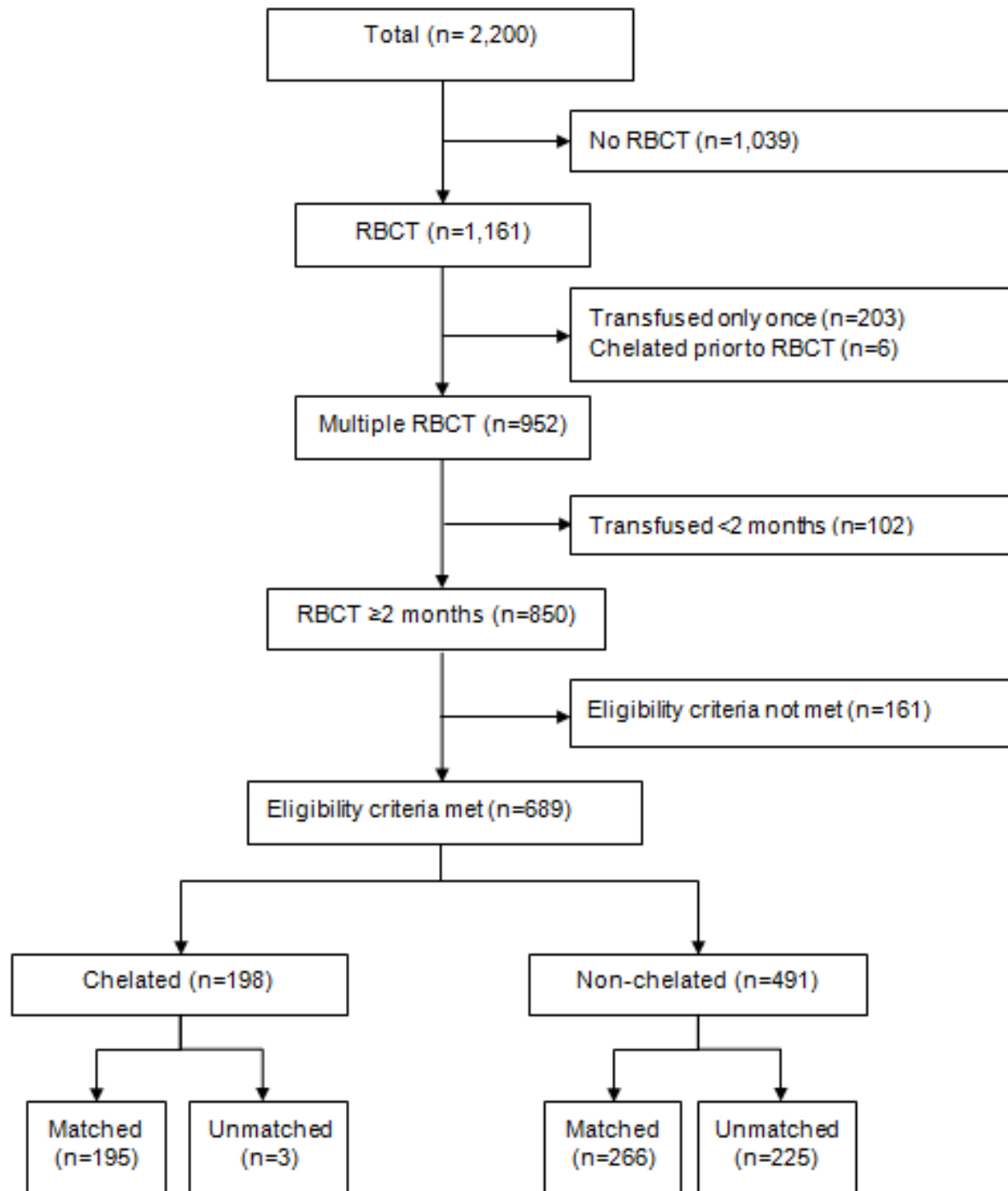
## 1. Vergelijking met controlegroep

- Cox proportional hazards model
  - Recept ijzerchelatietherapie als tijdsafhankelijke variable
- 
- Eligibility criteria
    - $\geq 15$  RBC transfusies
    - $\geq 1$  RBC eenheid/maand in 6 opeenvolgende maanden
    - Ferritine  $\geq 1000 \mu\text{g/L}$

## 2. Propensity-score matching

Propensity score = conditionele kans op krijgen ijzerchelatietherapie









# Baseline table

	Non-chelated	Chelated
<b>Total</b>	491	198
<b>Mean age (sd)</b>	76 (10)	70 (9)
<b>Comorbidity (MDSCI)</b>		
Low risk	310 (64%)	149 (76%)
Intermediate risk	148 (30%)	43 (22%)
High risk	30 (6%)	5 (3%)
<b>Performance status</b>		
Unable to care for self	8 (2%)	1 (1%)
Unable to work	132 (32%)	36 (20%)
Able to work and normal activity	269 (66%)	141 (79%)
<b>Duration of ICT (months)</b>		
Median (range)	-	13 (3-41)



---

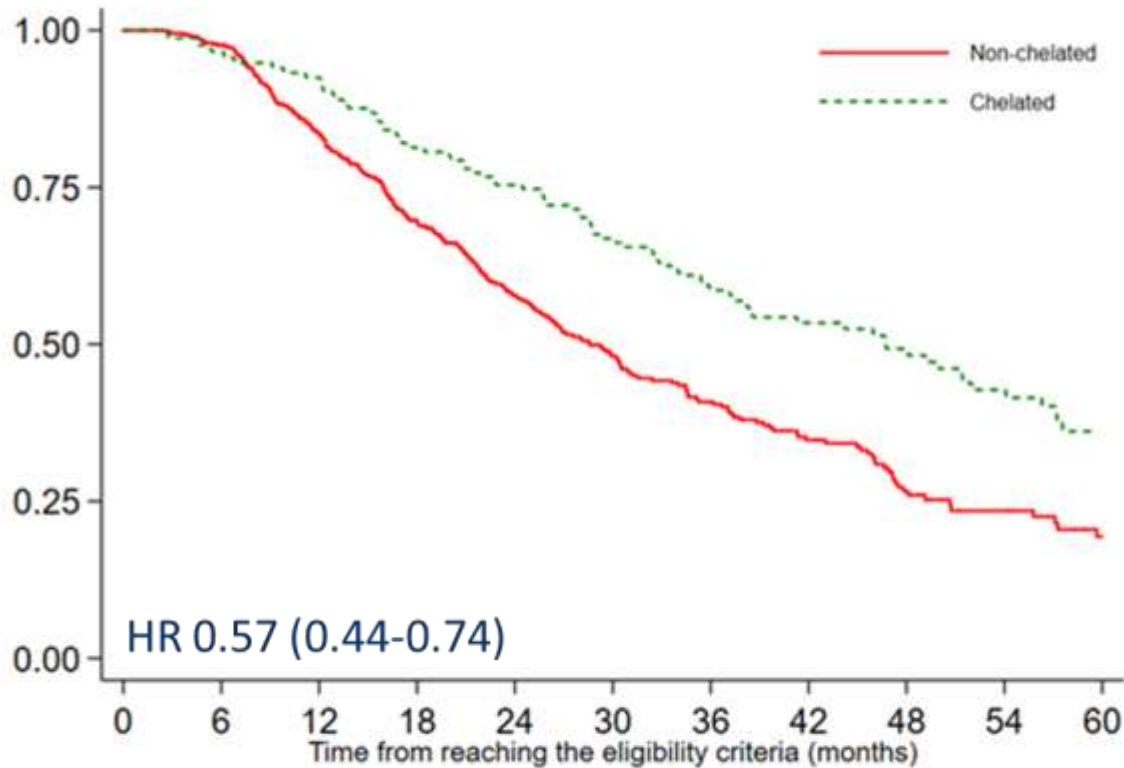
	Geen Chelatie	Chelatie
<b>Totaal</b>	491	198
<b>Totale overleving</b>		
‘ruw’	1	0.57 (0.44-0.73)
‘gecorrigeerd’	1	0.50 (0.32-0.79)

---

Gecorrigeerd voor leeftijd, geslacht, comorbiditeit, performance status, RBCT intensiteit, aantal getransfundeerde RBC units, IPSS-R, aanwezigheid ringsideroblasten



# Vergelijking met controlegroep



Number at risk

Non-chelated	612	548	389	280	191	138	105	71	42	26	16
Chelated	77	101	128	118	117	101	72	58	47	34	24



# Sanquin Propensity Score Analyse

	Geen Chelatie	Chelatie
<b>Totaal</b>	266	195
<b>Totale overleving</b>		
‘ruw’	1	0.70 (0.51-0.95)
‘gecorrigeerd’	1	0.42 (0.27-0.63)

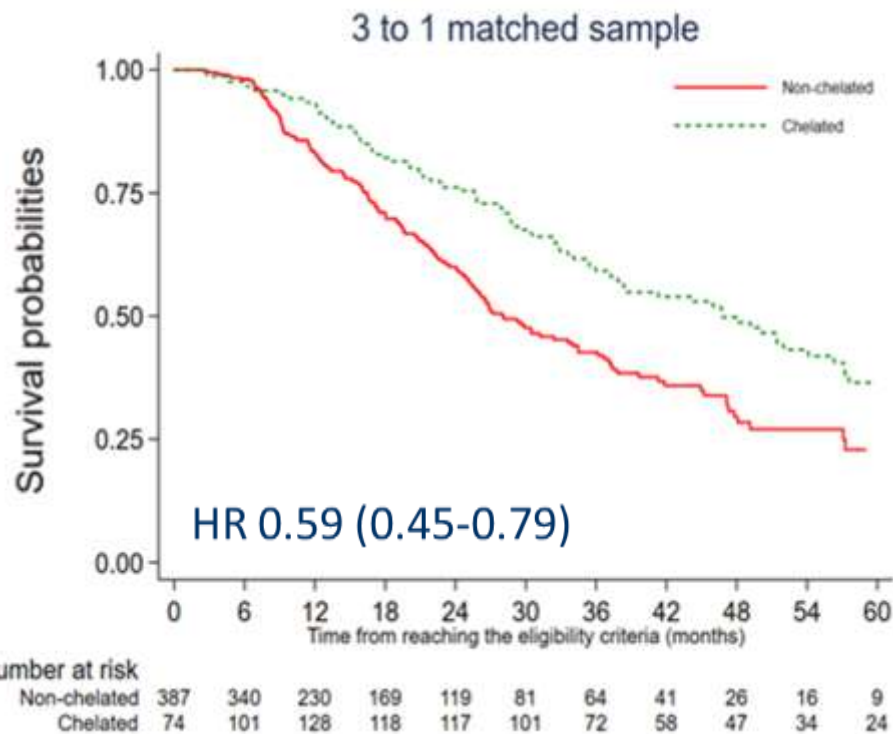
-Gematcht op leeftijd, geslacht, land, RBCT intensiteit, ferritiewaarde, comorbiditeit, performance status, en IPSS-R

-Gecorrigeerd voor leeftijd, geslacht, comorbiditeit, performance status, RBCT intensiteit, aantal getransfundeerde RBCT eenheden, IPSS-R, en aanwezigheid ring-sideroblasten

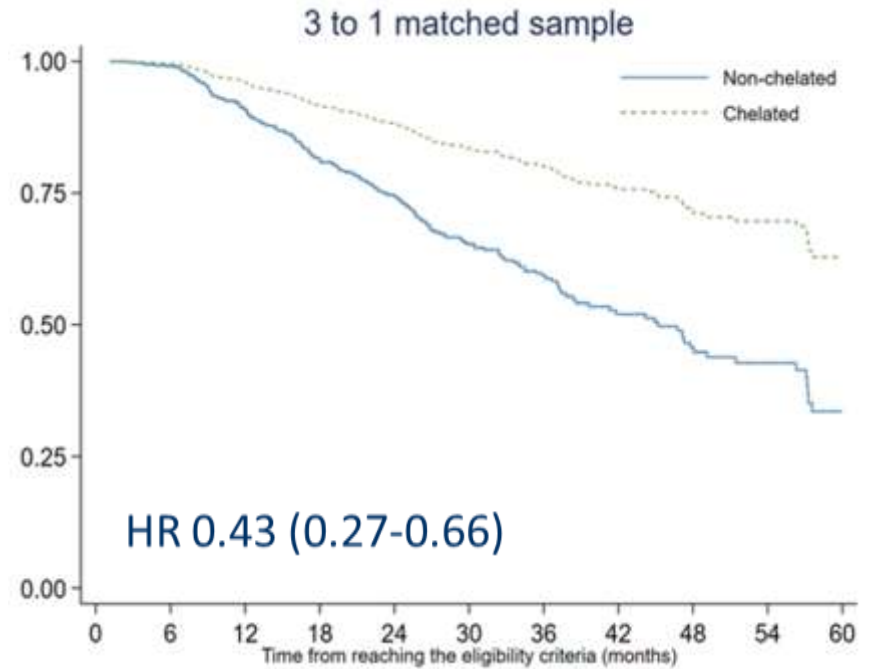


# Sanquin Propensity Score Analyse

## Kaplan Meier Curve



## Figuur Cox model





De resultaten van deze studie suggereren een overlevingsvoordeel voor laag-risico MDS patiënten behandeld met ijzerchelatietherapie



- Groot cohort met prospectief verzamelde 'real life' data
- Generaliseerbaar naar de, meestal oudere, LR-MDS patiëntpopulatie
- Confounding by indication, een veelvoorkomend probleem in observationele studies, maximaal gereduceerd door gebruik van de propensity-score matched methode



- Kleine groepen van de individuele ijzerchelatiemiddelen
- Dataverzameling elke 6 maanden
- Met propensity-score matching kunnen niet alle patienten gematcht worden
- Residuele confounding niet uit te sluiten (onbekende confounders)



# Vragen?

