



Free full text is available with an account for a limited time. [Create a free account now](#). Already have an account? [Sign in](#).

ORIGINAL ARTICLE



Ianalumab plus Eltrombopag in Immune Thrombocytopenia

Authors: Adam Cuker, M.D., Thomas Stauch, M.D., Nichola Cooper, M.D., Hanny Al-Samkari, M.D. , Marc Michel, M.D., Waleed Ghanima, M.D., Ph.D., Patrick Urban, M.D., Ph.D., ⁺¹⁹, for the VAYHIT2 Investigators* [Author Info & Affiliations](#)

Published December 9, 2025 DOI: 10.1056/NEJMoa2515168

Copyright © 2025



Abstract

BACKGROUND

Current second-line treatments for immune thrombocytopenia (ITP) require long-term administration. Ianalumab, a monoclonal antibody targeting B cells, is being assessed as a short-course second-line therapy in ITP.

METHODS

In this phase 3, randomized, double-blind trial, we assigned, in a 1:1:1 ratio, adults with primary ITP and an insufficient response or a relapse after first-line glucocorticoid therapy to receive ianalumab at a dose of 9 mg or 3 mg per kilogram of body weight or placebo once monthly for 4 months. Eltrombopag, an oral thrombopoietin-receptor agonist, was administered once daily in each group according to local prescribing information; the dose was tapered until discontinuation by the end of week 24 in eligible patients. The primary end point was freedom from treatment failure, as determined in a time-to-event analysis, with treatment failure defined by a platelet count of less than 30×10^9 per liter more than 8 weeks after randomization, initiation of rescue therapy more than 8 weeks after randomization, initiation of new ITP therapy, inability to taper or discontinue eltrombopag because of an inadequate platelet count, or death from any cause, whichever occurred first. The key secondary end point was a stable response at 6 months, defined by a platelet count of at least 50×10^9 per liter in at least 75% of the measurements between weeks 19 and 25 without use of rescue therapy or new ITP therapy. Safety was assessed.

RESULTS



A total of 152 patients underwent randomization: 50 to the 9-mg ianalumab group, 51 to the 3-mg ianalumab group, and 51 to the placebo group. The estimated probability of being free from treatment failure at 12 months was 54% (95% confidence interval [CI], 39 to 67) in the 9-mg group, 51% (95% CI, 36 to 64) in the 3-mg group, and 30% (95% CI, 18 to 43) in the placebo group. The time to treatment failure was significantly longer with ianalumab plus eltrombopag than with placebo plus eltrombopag; the estimated hazard ratio for treatment failure (ianalumab vs. placebo) was 0.55 (P=0.04) in the 9-mg group and 0.58 (P=0.045) in the 3-mg group. The percentage of patients with a stable response at 6 months was significantly higher in the 9-mg group than in the placebo group (62% vs. 39%; P=0.045). The overall frequency of adverse events during the treatment period was generally similar in the three groups. The frequency of serious adverse events was 16% in the 9-mg group, 6% in the 3-mg group, and 4% in the placebo group.

CONCLUSIONS

Ianalumab plus eltrombopag led to a longer time to treatment failure than placebo plus eltrombopag. (Funded by Novartis; VAYHIT2 ClinicalTrials.gov number, [NCT05653219](#).)

Continue reading this article

SELECT AN OPTION BELOW:

Access now with a free account.

CREATE ACCOUNT

Already have an account?

SIGN IN➔

NOTES

This article was published on December 9, 2025, at NEJM.org.

A [data sharing statement](#) provided by the authors is available with the full text of this article at NEJM.org.

Supported by Novartis.

[Disclosure forms](#) provided by the authors are available with the full text of this article at NEJM.org.

Samenvatting voor patiënten

Immuuntrombocytopenie (ITP) is een aandoening waarbij het afweersysteem bloedplaatjes afbreekt, waardoor bloedingen kunnen ontstaan. Veel patiënten hebben na prednison nog steeds een te laag aantal bloedplaatjes en hebben een tweede behandeling nodig. In dit onderzoek werd gekeken of een kortdurende behandeling met ianalumab (een medicijn dat bepaalde afweercellen remt) in combinatie met eltrombopag (een middel dat de aanmaak van bloedplaatjes stimuleert) betere en langdurigere resultaten geeft.

In totaal deden 152 volwassenen mee. Zij kregen vier maandelijks infusen met ianalumab of placebo, en daarnaast dagelijks eltrombopag. Vanaf week 16 werd eltrombopag afgebouwd als de bloedplaatjes voldoende hoog waren.

De resultaten laten zien dat patiënten die ianalumab kregen minder vaak terugval of behandelfalen hadden dan patiënten die placebo kregen. Na 12 maanden had 54% van de patiënten die ianalumab kreeg nog steeds geen behandelfalen, tegenover 30% in de placebogroep. Ook hadden meer patiënten in de ianalumab-groepen stabiele bloedplaatjeswaarden en konden zij succesvol stoppen met eltrombopag (62% versus 39%).

De behandeling werd over het algemeen goed verdragen. Veelvoorkomende milde klachten waren hoofdpijn en lichte infusiereacties. Ernstige bijwerkingen waren zeldzaam en kwamen in alle groepen voor. Hoewel een laag aantal neutrofielen iets vaker voorkwam bij ianalumab, leidde dit niet tot meer of ernstigere infecties.

Kortom: een combinatie van ianalumab plus eltrombopag lijkt een veelbelovende nieuwe tweedelijsbehandeling voor ITP, met een grotere kans op langdurige controle van de bloedplaatjes en minder behoefte aan langdurige medicatie.