Bilan sur les études en cours à promotion industrielle

M.Michel

Essai thérapeutique	Cytopénie AI	Clinical trial N°	Intitulé de l'étude	Promoteur Pharma	Centres participants (PI)
FORWARD C-935788-057	AHAI	NCT03764618	Étude de phase 3, multicentrique, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo, portant sur **le fostamatinib disodium dans le traitement de l'anémie hémolytique auto-immune à anticorps chauds**	RIGEL	Bordeaux (3) Créteil (0) Saint Antoine (1) Angers (1)
FORWARD C-935788-057	AHAI	NCT04138927	Étude d'extension de phase 3 en ouvert portant sur le fostamatinib disodium dans le traitement de l'anémie hémolytique auto-immune à anticorps chauds.	RIGEL	Bordeaux Créteil Caen
ADVANCE ARGX-113-1801	PTI	NCT04188379	Essai de phase 3, multicentrique, randomisé, en double aveugle, contrôlé par placebo, visant à évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi de l'efgartigimod (ARGX-113) 10 mg/kg **par voie intraveineuse** chez des patients adultes atteints de purpura thrombopénique immunologique primaire	ARGENX	Bordeaux Créteil (PI) Montpellier
ADVANCE ARGX-113-1803	PTI	NCT04225156	Étude de phase III, multicentrique, en ouvert, à long terme visant à évaluer la sécurité et l'efficacité de l'efgartigimod (ARGX-113) à 10 mg/kg par **voie intraveineuse** chez des patients adultes atteints de PTI primaire	ARGENX	Bordeaux Créteil (PI)
LUNA PRN1008-018	**PTI**	**NCT04562766**	**Étude multicentrique de phase III, randomisée, en double aveugle, contrôlée contre placebo, en groupes parallèles avec extension en ouvert visant à évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi du rilzabrutinib (btk i) par voie orale (PRN1008) chez des adultes et adolescents atteints de PTI persistant ou chronique**	**PRINCIPIA**	**Bordeaux (PI) Saint Antoine Créteil Dijon Nantes**
TP0003	PTI	NCT04200456	Étude de phase III multicentrique, en double aveugle, randomisée, contrôlée contre placebo, évaluant l'efficacité, la tolérance et la sécurité d'emploi du rozanolixizumab (anti-FcRn) comme traitement du PTI persistant ou chronique de l'adulte	UCB	Bordeaux (PI) Dijon Marseille Lille

4-5 patients inclus en France
Au global 86/90

Essai terminé
2 patients inclus
En France
(Bordeaux Montpellier)
Nouvelle étude prévue avec forme SC

Essais thérapeutiques à promotion industrielle CeReCAI participants

TP0004	**PTI**	**NCT04596995**	**Étude d'extension en ouvert évaluant l'efficacité, la tolérance et la sécurité d'emploi à long terme du rozanolixizumab comme traitement du purpura thrombopénique immunologique (PTI) persistant ou chronique**	**UCB**	**Bordeaux (PI)**
ACT16832	AHAIc	NCT04661033	A multicenter, open-label, non-randomized, Phase 1b/2 study to evaluate the safety, pharmacokinetics, and efficacy of subcutaneous **isatuximab** in adults with warm autoimmune hemolytic anemia	SANOFI	Bordeaux
INCB 50465-309	AHAIc et MAF		**Parsaclisib** (PI3K inhibiteur) dans l'AHAI à Ac. chauds et la MAF	Incyte	Lille ? L Galicier (Marseille)
ARGX-113-2004	PTI		A Phase 3, Multicenter, Randomized, Double-Blinded, Placebo-Controlled Trial to Evaluate the Efficacy and the Safety of **Efgartigimod (ARGX-113) PH20 Subcutaneous** in Adult Patients With Primary Immune Thrombocytopenia	Argenx	Créteil Autres ?
ANX-wAIHA-01	AHAIc		« Étude visant à évaluer la signature du complément chez les patients atteints d'anémie hémolytique auto-immune à auto-anticorps « chauds »	Annexon	Créteil (PI)

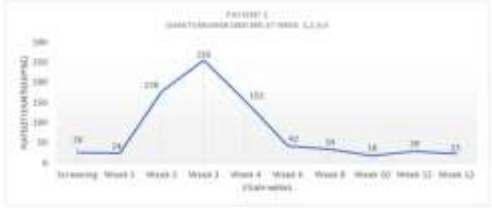
Essais thérapeutiques à promotion académique

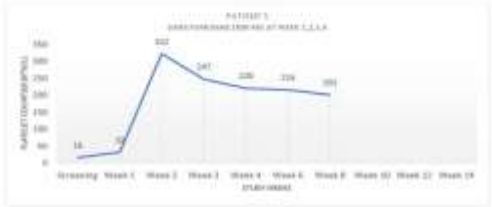
PROLONG	PTI	NCT03010202	"Prolongation de la réponse thérapeutique par une faible dose de rituximab en traitement d'entretien dans le « PTI » (PTI) : étude randomisée, contrôlée versus placebo"	instit : Hôpital Østfold - Norvège	Bordeaux Créteil (N = 7) Dijon (n = 4) Toulouse (n = 1) Poitiers
DART	PTI en échec de 2 lignes de tt	NCT04703621	multicenter, open-label, dose-escalating phase II study with a safety run-in to evaluate the safety and efficacy of daratumumab in patients with ITP	instit : Hôpital Østfold - Norvège	Créteil (PI)

N = **111** pts (85%) inclus à ce jour

N = **3 patients inclus** en Norvège, étude non encore ouverte en France

Objectif **21 patients**





Etudes à venir

Title of study:	A Phase 3, Randomized, Double-blind, Placebo-controlled Multicenter Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Pegcetacoplan in Patients with Cold Agglutinin Disease (CAD) Who Have Received a Prior Rituximab-based Therapy
Clinical study number:	Sobi.PEGCET-101

C3 inhibiteur par voie SC

Créteil, Marseille, Lyon, Bordeaux

An open-label, multi-center basket study to assess efficacy, safety and pharmacokinetics of iptacopan (LNP023) in patients with different benign hematological disorders (inhibiteur du **facteur B** disponible **par voie orale)**

Dijon, Lille, Nancy..

Questions / problèmes

- « *Trop d'essais tue l'essai* » ? => intérêt du filtre en amont du Conseil Scientifique +++

- Comment faire pour inclure plus de patients ? => communication, associations de patients

- Attention à ne pas trop concurrencer les essais académiques à venir

- IVIORDEX

- RITUPLUS2