

Les études cliniques Juin 2019

Pathologie	Intitulé du projet	Investigateur principal (ou investigateur pour la France)	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
anémies transfusion dépendantes	CALYPSO : étude internationale de phase II randomisée ouverte évaluant l'innocuité, la tolérance et l'adhérence au traitement d'une formulation améliorée de déférasirox chez des patients présentant une surcharge en fer	Dr Corinne Pondarré (CHI Créteil) Dr Valentine Brousse (hôpital Necker-Enfants malades)	Terminée, Novartis Pharmaceuticals, NCT02125877
bêta-thalassémie	HGB 207 : étude simple bras de phase III évaluant l'efficacité et la sécurité d'une thérapie génique par LentiGlobin® BB305 chez des patients avec une bêta-thalassémie majeure	Dr Isabelle Thuret (hôpital de la Timone)	Recrutement en cours, Bluebird bio Inc., NCT02906202
bêta-thalassémie	BELIEVE : étude de phase III randomisée, contrôlée par placebo, en double aveugle, évaluant l'efficacité et la sécurité du Luspatercept (ACE-536) chez des adultes atteints de bêta-thalassémie nécessitant des transfusions régulières	Pr Olivier Hermine (hôpital Necker-Enfants malades)	En cours, Celgene Inc., NCT02604433
bêta-thalassémie	HGB 212 : étude de phase III simple bras, évaluant l'efficacité et l'innocuité de la thérapie génique chez des patients atteints de β-thalassémie transfusion dépendante par transplantation de cellules souches autologues transduites avec le vecteur LentiGlobin® BB305	Dr Isabelle Thuret (hôpital de la Timone)	Recrutement en cours (patients ≤ 50 ans), Bluebird bio Inc., NCT03207009
bêta-thalassémie	Projet national d'évaluation de l'état de santé des patients atteints de bêta-thalassémie majeure ayant reçu une greffe de cellules souches hématopoïétiques	Dr Isabelle Thuret (hôpital de la Timone)	Recrutement en cours, AORC APHM 2011
déficit en pyruvate kinase	DRIVE PK (AG348-C-003) : étude de phase II ouverte, randomisée, de recherche de dose, évaluant la sécurité et l'efficacité de l'AG-348 chez des patients adultes atteints de déficit en pyruvate kinase	Pr Frédéric Galactéros (hôpital Henri Mondor)	En cours, Agiros Pharmaceuticals, NCT02476916
drépanocytose	SSADREPA : étude prospective des facteurs pronostiques de séquestration splénique aiguë dans une cohorte d'enfants drépanocytaires	Dr Valentine Brousse (hôpital Necker-Enfants malades)	En cours, PHRC national, APHP, NCT01207037
drépanocytose	DREPAGREFFE : étude prospective comparant l'allogreffe génoidentique au programme transfusionnel chez des enfants drépanocytaires avec vasculopathie cérébrale	Dr Françoise Bernaudin (CHI Créteil)	En cours, PHRC national, APHP, NCT01340404
drépanocytose	GBT_HOPE : étude de phase III, randomisée en double aveugle contre placebo évaluant le GBT440 par voie orale chez des patients drépanocytaires	Pr Pablo Bartolucci (hôpital Henri Mondor)	Recrutement en cours, Global Blood Therapeutics Inc., NCT03036813
drépanocytose	PHEDRE : étude observationnelle de la prévalence de l'usage problématique du mélange équimolaire d'oxygène et de protoxyde d'azote et d'antalgiques par les patients drépanocytaires	Dr Marie Gérardin (CHU de Nantes)	Etude terminée, NCT02580565
drépanocytose	PRESEV2 : étude observationnelle pour la validation d'un score prédictif du syndrome thoracique aigu	Pr Pablo Bartolucci (hôpital Henri Mondor)	Recrutement en cours, association SAMG, Addmedica, laboratoires Pierre Fabre, NCT03032055
drépanocytose	ESCORT-HU : étude observationnelle de phase IV évaluant la sécurité à long terme du Siklos® chez les patients drépanocytaires	Pr Mariane de Montalembert (hôpital Necker-Enfants malades) Pr Frédéric Galactéros (hôpital Henri Mondor)	En cours, Addmedica, NCT02516579
drépanocytose	DREP'ADO : étude contrôlée, randomisée évaluant l'impact d'un programme de transition pédiatrie – adulte sur l'état de santé des adolescents atteints de drépanocytose	Pr Yves Bertrand (CHU de Lyon)	Recrutement en cours, programme de recherche sur la performance du système de soins, DGOS

drépanocytose	SAPOTILLE : épidémiologie et mécanismes physiopathologiques de l'hypertension artérielle pulmonaire chez l'enfant drépanocytaire homozygote SS et hétérozygote SC en Martinique et en Guadeloupe	Dr Maryse Etienne-Julan (CHU de Pointe-à-Pitre/Abymes)	PHRC interrégional, DIRC Sud-Ouest Outre-mer
drépanocytose	EVADREP : étude rétrospective évaluant la prise en charge médicale des enfants drépanocytaires diagnostiqués par le dépistage néonatal en France	Dr Isabelle Thuret (hôpital de la Timone)	AFDPHE et CNAMTS
drépanocytose	DREPSUFINDOL : étude contrôlée, randomisée en double aveugle, double placebo, évaluant l'efficacité du sufentanil intranasal pour l'analgésie des crises vaso-occlusives de l'adulte drépanocytaire	Dr Marie-Catherine Receveur (hôpital Pellegrin)	Recrutement en cours, PHRC interrégional
drépanocytose	DREPASOM : étude du sommeil chez les patients adultes porteurs d'un syndrome drépanocytaire majeur présentant des événements paroxystiques nocturnes	Pr Serge Adnot Dr Anoosha Habibi (hôpital Henri Mondor)	Recrutement en cours (patients ≥ 18 ans), PHRC régional NCT02539771
drépanocytose	Projet pilote de télémédecine TELEDREP : réseau régional téléconsultation et téléexpertise drépanocytose de l'enfant. Réseau informel Nord et Est de l'Île-de-France	Dr Malika Benkerrou (hôpital Robert Debré)	Recrutement en cours, (patients de 2 mois à 18 ans), télémédecine et maladies chroniques en Ile-de-France, ARS IDF
drépanocytose	DROG2 : étude multicentrique randomisée de phase III évaluant l'efficacité de l'oxygénothérapie prophylactique sur les complications materno-foetales pendant la grossesse des femmes drépanocytaires	Dr Jean-Antoine Ribeil puis Dr Laure Joseph (hôpital Necker-Enfants malades)	Recrutement en cours (femmes enceintes), PHRC interrégional, NCT02813850
drépanocytose	PCDREP : étude observationnelle prospective multicentrique évaluant la perfusion cérébrale chez les patients drépanocytaires adultes ayant une vasculopathie cérébrale	Pr Pablo Bartolucci (hôpital Henri Mondor)	En cours (patients ≥ 18 ans), Association SAMG
drépanocytose	BIOCADRE (Biologie, Cœur, Artère et Drépanocytose) : étude observationnelle prospective visant à déterminer des marqueurs cliniques de patients ayant un phénotype drépanocytaire extrême	Pr Brigitte Ranque (Inserm U970 - hôpital européen Georges Pompidou)	Recrutement en cours (patients ≥10 ans), ANR, NCT03352986
drépanocytose	TASC : étude multicentrique de phase III, randomisée, contrôlée, en double aveugle évaluant l'efficacité et l'innocuité d'un traitement anticoagulant au cours du syndrome thoracique aigu de la drépanocytose adulte	Pr Bernard Maitre (hôpital Henri Mondor)	Recrutement en cours (patients ≥ 18 ans), PHRC interrégional, NCT02580773
drépanocytose	EXDRE : étude interventionnelle pilote, multicentrique randomisée évaluant les effets d'un programme d'entraînement chez des patients drépanocytaires homozygotes sur les capacités physiques et le muscle squelettique	Pr Pablo Bartolucci (hôpital Henri Mondor)	Terminée, (patients ≥ 18 ans), CHU de Saint-Etienne NCT02571088
drépanocytose	PERFID : étude randomisée, contrôlée, évaluant l'efficacité d'un dispositif de transillumination veineuse pour faciliter la mise en place d'une perfusion pendant une crise vaso-occlusive chez les patients adultes drépanocytaires	Dr Jean-Benoit Arlet (hôpital européen Georges Pompidou)	Recrutement en cours (patients ≥ 18 ans), PHRIP, NCT03477552
drépanocytose	APPLIDREP : évaluation de l'application mobile AppliDrep d'aide à l'adhérence thérapeutique chez des patients atteints de drépanocytose sévère	Dr Malika Benkerrou (hôpital Robert Debré)	Recrutement en cours (patients de 12 à 25 ans), ARS, SESAN
drépanocytose	GENRED : dépistage génomique des érythrocytoses héréditaires et maladies apparentées	Pr François Girodon (CHU de Dijon)	Recrutement en cours (tous âges), NCT03263364
drépanocytose	HDL2 : variation du bilan lipidique des patients drépanocytaires adultes SS et SC en fonction du phénotype clinique à l'état de base et lors de complications	Dr Marie-Laure Lalanne-Mistrih (CHU de Pointe-à-Pitre/Abymes)	Recrutement en cours (patients ≥ 18 ans), PHRC interrégional 2012
drépanocytose	IDEAL : identification de prédictors précoces dans la drépanocytose pour permettre une médecine personnalisée	Pr Mariane de Montalembert (hôpital Necker-Enfants malades)	Recrutement en cours (patients de 6 à 18 ans), Institut Imagine

drépanocytose	SOMMEDREP : évaluation systématique des troubles respiratoires au cours du sommeil chez l'enfant drépanocytaire	Dr Malika Benkerrou (hôpital Robert Debré)	Recrutement en cours (patients de 2 à 6 ans), PHRC 2010, NCT01565954
drépanocytose	NEODREP II : suite de l'étude NEODREP sur l'évaluation de 15 années de dépistage néonatal de la drépanocytose dans la région Nord de l'Île-de-France	Dr Malika Benkerrou (hôpital Robert Debré)	Recrutement non commencé (patients de 0 à 18 ans), Mécénat LVMH
drépanocytose	MUSICODREP (étude pilote) : étude pilote évaluant les effets d'un programme de musicothérapie sur la douleur de crise vaso-occlusive chez le patient drépanocytaire	Dr Sylvain Le Jeune (hôpital Avicenne)	Recrutement en cours (patients ≥ 18 ans), Appel d'offre interne GHPPSSD (APHP), NCT03639805
drépanocytose	PADRE : ADN plasmatique et remodelage vasculaire chez le patient drépanocytaire	Dr Sylvain Le Jeune (hôpital Avicenne)	Recrutement en cours (patients ≥ 18 ans), Addmedica et bourse SNFMI, NCT02721472
drépanocytose	impact de la drépanocytose sur la vie quotidienne des personnes atteintes de syndromes drépanocytaires majeurs	Pr Frédéric Galactéros (hôpital Henri Mondor)	Recrutement en cours (patients ≥ 18 ans), Association SAMG
drépanocytose & sphérocytose	étude de la déformabilité des globules rouges drépanocytaires et sphérocytaires en microfluidique	Dr Emmanuelle Bernit (hôpital de la Timone)	Recrutement en cours
drépanocytose	DREPARIC : étude prospective multicentrique évaluant un conditionnement réduit pour la greffe de cellules souches hématopoïétiques dans la drépanocytose	Dr Nathalie Dhedin (hôpital Saint Louis)	Recrutement non commencé (patients ≥ 15 ans), PHRC national 2018
drépanocytose	SIKAMIC : étude multicentrique, en double aveugle, randomisée contre placebo évaluant les effets de l'hydroxycarbamide sur l'albuminurie chez les patients drépanocytaires	Pr Pablo Bartolucci (hôpital Henri Mondor)	Recrutement non commencé Addmedica 2017 (patients ≥ 18 ans), 2018-002899-41 (Eudract)