



Groupe
Francophone des
Myélodysplasies

**Traitement de l'anémie des syndromes myélodysplasiques
de faible risque par l'Epoétine Bêta avec
analyse du retentissement sur la qualité de vie et les
capacités fonctionnelles du patient**

Etude de phase II, ouverte et multicentrique

Numéro EudraCT 2009-011161-87

RESUME

| | |
|--|---|
| <p>Promoteur: GFM Groupe Francophone des Myélodysplasies Service d'Hématologie Clinique Hôpital Avicenne/ Université Paris 13 125 rue de Stalingrad 93009 Bobigny France</p> | <p>Investigateurs Coordonnateurs</p> <p>Dr Jacques DELAUNAY Service d'Hématologie du CHU de Nantes 1 place Alexis Ricordeau 44093 Nantes Cedex. Tel : 02 40 08 32 71 ; Portable : 06 23 86 21 98 ; Fax : 02 40 08 32 50. E-mail : jacques.delaunay@chu-nantes.fr</p> <p>Pr Pierre FENAUX Hôpital Avicenne Service d'hématologie clinique 125 rue de Stalingrad 93009 Bobigny tel 33 (0) 1 48 95 70 50/70 51/70 52 fax 33 (0) 1 48 95 70 58 mobile 33 (0) 6 08 06 75 70 e-mail: pierre.fenaux@avc.aphp.fr</p> |
| <p>ARC coordonnateur : Anna Testu Service d'Hématologie du CHU de Nantes, 1 place Alexis Ricordeau 44093 Nantes Cedex. Tel : 02 40 08 32 89 ; Fax : 02 40 08 77 66. e-mail : anna.testu@chu-nantes.fr</p> | |

| | |
|--------------------------------|--|
| TITRE DE L'ETUDE | Traitement de l'anémie des syndromes myélodysplasiques de faible risque par l'Epoétine Bêta avec analyse du retentissement sur la qualité de vie et les capacités fonctionnelles du patient |
| TYPE DE L'ETUDE | IST, étude randomisée de phase II, ouverte et multicentrique |
| PROMOTEUR | Groupe Francophone des Myélodysplasies (GFM) |
| COORDINATEURS | Dr Jacques DELAUNAY, Pr Pierre FENAUX |
| PRODUIT | Epoétin bêta (NeoRecormon®) |
| OBJECTIF PRINCIPAL | <ul style="list-style-type: none"> • Evaluer le niveau de réponse hématologique selon les critères IWG 2000 et IWG 2006 avec un schéma d'administration d'époétine bêta (NeoRecormon®) à forte dose pendant 12 et 24 semaines de traitement. |
| OBJECTIFS SECONDAIRES | <ul style="list-style-type: none"> • Evaluer la valeur prédictive du taux de réticulocytes à J8 sur la réponse érythroïde. • Evaluer le délai de réponse • Evaluer la tolérance • Evaluer le retentissement sur la qualité de vie par mesure utilisant les Echelles FACT-An et EQ-5D • Evaluer les capacités fonctionnelles : <ul style="list-style-type: none"> • La performance cardio-vasculaire à l'effort par test de Marche de 6 minutes. • Réalisation des tests « Short Physical Performance Battery » |
| NOMBRE DE PATIENTS | 70 |
| DUREE DE L'ESSAI: | Il est prévu une période d'inclusion de 12 mois. La durée totale de l'étude sera de 2 ans. Pour chaque patient, la durée de participation maximale sera de 24 semaines. |
| NOMBRE PREVU DE CENTRES | L'étude sera menée dans 25 centres GFM et d'autres centres se joindront ultérieurement si nécessaire. |
| CRITERES D'INCLUSION | <p>Consentement éclairé écrit</p> <ul style="list-style-type: none"> • Patients âgés de 18 ans et plus avec : |

| | |
|---|---|
| | <ul style="list-style-type: none"> • Syndrome Myélodysplasique de type AR, ARS, CRMD, CRMD-RS, AREB 1 avec score IPSS faible ou intermédiaire 1 (score $IPSS \leq 1$) et anémique avec un taux d'Hémoglobine inférieur à 10g/dL transfusé ou non. • taux d'EPO endogène sérique < 500UI/L • Pour les femmes en âge de procréer, nécessité d'une contraception efficace durant toute la durée de l'étude. |
| CRITERES D'EXCLUSION | <ul style="list-style-type: none"> • Chimiothérapie intensive dans les 3 mois précédant l'inclusion • Syndrome myélodysplasique avec score IPSS >1 • Traitement par rHu-Epo ou rHu-GCSF dans les deux mois précédant l'inclusion • Score EGOG supérieur ou égal à 3 • Cause d'anémie associée : Déficit en fer, vitamine B12 ou acide folique, hypothyroïdie avant correction • HTA incontrôlée • Espérance de vie inférieure à 6 mois • LMMC • Femmes enceintes ou allaitantes • Patient présentant une clairance de la Créatinine inférieure à 30ml/min. |
| PRODUIT A L'ETUDE, DOSE ET MODE D'ADMINISTRATION | Les patients recevront un traitement par Epoétine bêta à la dose initiale de 60 000 unités par semaine en 2 injections sous cutanées. |
| DUREE DU TRAITEMENT | La durée de traitement dans l'essai est de 24 semaines. Le choix de poursuivre le traitement chez les patients répondeurs au-delà de cette période est laissé à la discrétion de chaque investigateur. |
| MODIFICATIONS DE DOSE | La réponse sera réévaluée à 12 semaines de traitement. En l'absence de réponse à 12 semaines (critères IWG 2000 et IWG 2006), il pourra être ajouté des injections de lénograstim (Granocyte 13 [®]), 3 fois/semaine à ajuster ensuite de façon à maintenir la leucocytose en dessous de 10 000/mm ³ et ce |

| | |
|------------------------------|---|
| | jusqu'à 24 semaines. |
| TRAITEMENTS ASSOCIES | Pendant toute la durée de l'étude, les patients seront transfusés selon les habitudes du centre ayant en charge le patient. |
| CRITERES D'EVALUATION | <p>Le critère principal de jugement est:</p> <ul style="list-style-type: none"> • la réponse érythroïde selon les critères IWG 2000 et IWG 2006 évaluée à 12 puis 24 semaines après l'inclusion. <p>Les critères secondaires de jugement sont:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Le taux de réticulocytes sanguins mesuré après 7 Jours de traitement • La qualité de vie mesurée par les échelles FACT-An et EQ-5D, à l'inclusion, à 12 semaines, à 24 semaines et/ou lors de la sortie prématurée d'étude. • Le test de marche de 6 minutes à l'inclusion, à 12 semaines, à 24 semaines et/ou lors de la sortie prématurée d'étude. • Le Short Physical Performance Battery à l'inclusion, à 12 semaines, à 24 semaines et/ou lors de la sortie prématurée d'étude. |
| FABRICANT DU PRODUIT | ROCHE / 52 boulevard du Parc / 92521 Neuilly-sur-Seine cedex |