

Nous avons le plaisir de vous parvenir la première Newsletter du centre de référence afin de vous présenter ses actualités et ses actions. Elle vous sera désormais proposée de façon bi-annuelle.

Très bonne lecture.

La coordination du centre de référence

N'oubliez pas de consulter régulièrement notre site avec les actualités mises à jour

#### 4<sup>ème</sup> Journée annuelle

**Le vendredi 4 octobre 2019 au musée des moulages à l'Hôpital Saint Louis**, avec la matinée consacrée aux actualités et traitements alternatifs de la maladie de Fanconi et l'après-midi, l'aplasie médullaire acquise et l'HPN. Retrouver le programme et inscription gratuite sur le site internet [www.aplasiemedullaire.com](http://www.aplasiemedullaire.com)  
Au plaisir de vous retrouver nombreux.

#### Documents d'information

Afin de faciliter la prise en charge des patients, le centre de référence a élaboré des documents destinés aux professionnels de santé (recommandations et réponses aux questions les plus fréquemment posées) et aux patients (livrets d'informations). Ces documents sont en cours de diffusion dans les différents centres de notre réseau national. Ils sont également disponibles sur notre site internet en version imprimable.

- Un livret d'information destiné aux **patients atteints d'aplasie médullaire** [Livret patient](#)
- Un livret sur les recommandations générales de suivi d'un patient atteint de **la maladie de Fanconi** destiné aux médecins et aux patients/familles (*prochainement disponible*)
- Un tryptique sur le **suivi d'un patient HPN traité par Eculizumab** destiné aux médecins [Tryptique HPN](#)
- Un livret explicatif sur les **téломéropathies** (*prochainement disponible*)

#### PNDS des aplasies médullaires acquises et constitutionnelles

La publication de la mise à jour du PNDS est prévue courant de cet été et sera disponible sur divers sites (HAS/Aplasia Médullaire/filière MaRIH). Elle fait suite à un travail collaboratif mené depuis juin 2018 par l'ensemble des membres du centre de référence associant les associations de patients mais également différents professionnels de santé non affiliés. Un grand merci à tous pour ce travail majeur.

**Vidéos** expliquant [l'aplasie médullaire idiopathique](#), [l'HPN](#) et la [maladie de Fanconi](#) (Régis Peffault de Latour), [l'anémie de Blackfan-Diamond](#) (Thierry Leblanc)

Avec un témoignage de patients atteints de ces maladies et proches, réalisées sous l'égide la filière MaRIH.

#### Recherches cliniques ouvertes aux inclusions

Retrouver tous les protocoles thérapeutiques sur le site internet

- **Protocole thérapeutique - PHRC interrégional ANDROTELO (NCT 03710356)**

Coordonné par Flore Sicre de Fontbrune et ouvert aux inclusions depuis octobre 2018 (7 patients inclus dans 5 centres), il s'agit d'un essai bayésien de phase I/II qui évalue l'efficacité et la tolérance du **danazol** chez les patients ayant une atteinte hématologique ou pulmonaire sévère liée à une **téломéropathie**. 18 centres d'hématologie adultes ou pédiatriques et de pneumologie y participent. N'hésitez pas à nous contacter et retrouvez de plus amples renseignements sur [recherche Androtelo](#).

- **Protocole thérapeutique ALX 1210-303 - Alexion**

Ouvert aux inclusions sur 14 centres en France, il s'agit d'un essai de phase III de non-infériorité comparant la pharmacocinétique du Ravulizumab en sous-cutanée *versus* Ravulizumab en intra-veineux chez les patients HPN stables traités avec au moins 6 mois par Eculizumab. 9 patients sont déjà traités en France.

[Centres participants](#)

- **- Protocole thérapeutique APL2-302 (PEGASUS) – Appelis (NCT 03500549)**

Ouvert aux inclusions sur 7 centres en France, il s'agit d'un essai de phase III contrôlé qui vise à évaluer l'efficacité et la sécurité d'APL2 (blocage en amont du C5, administré par voie sous cutanée) chez les patients atteints d'HPN comparé à l'Eculizumab. 15 patients sont déjà traités en France.

[Centres participants](#)

[Résumé de la recherche](#)

- **Protocole thérapeutique (COMPOSER) – Roche (NCT 03157635)**

Ouvert aux inclusions sur 2 sites (Paris, Lyon), il s'agit d'une étude adaptative de phase I/II qui vise à évaluer la sécurité, l'efficacité, la pharmacocinétique et la pharmacodynamie du RO7112689 (anticorps monoclonal anti C5, par voie sous-cutanée) chez les volontaires sains et des patients atteints d'HPN. 6 patients ont déjà reçus le traitement.

- **Observatoire et biobanque RIME des insuffisances médullaires**

Notre base de données clinico-biologiques à enregistrer depuis 2017 plus de 550 patients avec le recueil systématique de la non opposition des patients ou parents. Plus de 500 échantillons sang et/ou moelle et/ou peau ont été collectés (hors collections biologiques historiques existantes) après recueil du consentement RIME. N'hésitez pas à nous contacter pour y participer [cr.aplasiemedullaire.sls@aphp.fr](mailto:cr.aplasiemedullaire.sls@aphp.fr), une mise en place téléphonique est proposée. Le recueil des données et la logistique des échantillons biologiques sont pris en charge par le centre de référence. Issue de l'observatoire, le centre de référence pilote l'étude REVEPI de l'utilisation en vie réelle du Revolade® dont les résultats sont attendus par l'HAS en juin 2020 et porte sur 150 patients traités. [Observatoire RIME](#).

A noter, l'étude clinique **RACE** (NCT 0299747) désormais fermée aux inclusions.

### **Prise en charge de congrès à envergure internationale (année 2019-2020)**

Dans le cadre de ses missions, le centre de référence souhaite soutenir la formation des médecins cliniciens et biologistes de son réseau national. Il est ainsi proposé la prise en charge des frais relatifs pour 2 médecins pour le congrès ASH 2019 (candidature ouverte en juillet) et 2 médecins pour un autre congrès en Europe (2019-2020) en lien avec la thématique aplasie médullaire.

Vous retrouverez prochainement toutes les informations nécessaires et les modalités pour postuler sur notre site internet, rubrique actualités.