

Nous avons le plaisir de vous parvenir notre 2^{ème} Newsletter du centre de référence qui est axée sur les actualités thérapeutiques dans l'aplasie médullaire.

Très bonne lecture.

L'équipe du centre de référence vous souhaite de bonnes fêtes de fin d'année.

Agenda :

5^{ème} Journée annuelle : vendredi 9 octobre 2020 à Saint-Louis, Paris

Les 30 ans de l'association AFMF : les 23 et 24 octobre 2020 au Parc Astérix

Association HPN : le 6 Juin 2020 au FIAP à Paris

Association Anémie de Blackfan-Diamond : du 17 au 19 octobre 2019 à Toulouse

PNDIS des aplasies médullaires acquises et constitutionnelles

Publié en Août 2019, disponible sur notre site [PNDIS 2019](#)

Grand angle Horizons Hémato sur l'aplasie médullaire – Décembre 2019

A lire sur notre site tous les articles relatifs [au centre de référence, aux associations et à l'aplasie médullaire](#)

Actualités thérapeutiques

L'année 2019 sera marquée par des avancées thérapeutiques majeures, dans le domaine de l'aplasie médullaire idiopathique et de l'HPN. L'Éltrombopag apparaît désormais, prendre une part très importante dans le traitement des aplasies médullaires idiopathiques avec la confirmation du bénéfice en terme de réponse chez les patients réfractaires et la présentation à l'ASH l'année dernière de données sur les aplasies médullaires modérées, en première ligne. Néanmoins, une surveillance médullaire annuelle avec cytogénétique est recommandée et il semble qu'il n'y ait pas de bénéfice en première ligne à ce traitement, chez l'enfant (données présentées à l'ASH cette année par le National Institute of Health). Enfin, l'étude randomisée en 1ère ligne RACE a terminé son recrutement. Les résultats seront présentés à l'EBMT et bientôt publiés.

Dans le domaine de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne, là encore, l'actualité thérapeutique est dense. Les essais de non infériorité du Ravulizumab (anti-C5 longue vie) vis-à-vis de l'Eculizumab, ont été publiés dans Blood en février dernier que ce soit chez les patients HPN déjà sous Eculizumab ou chez les patients HPN naïfs, montrant une non infériorité entre les deux traitements et donc un bénéfice en termes de qualité de vie (6 injections versus 26 injections par an) en faveur du Ravulizumab. Un grand nombre d'autres médicaments, sont en développement notamment l'anti-facteur D d'Achillion (Danicopan) qui a montré des résultats intéressants à l'ASH cette année chez les patients transfusés sous Eculizumab et l'anti-C3 d'Apellis (APL-2) dont l'essai randomisé sera publié en 2020. L'anti-facteur B en développement de Novartis (LNP023), l'anti-C5 sous cutané de Roche (Crovalumab) qui lui aussi, a été rapporté à l'ASH cette année en terme d'engineering (recirculation) et de pharmacodynamie sont des drogues aussi prometteuses.

Nulle doute que l'année 2020 sera riche en publications sur l'aplasie médullaire idiopathique ou sur les nouveaux anti-compléments afin d'optimiser la réponse hématologique et la qualité de vie de nos patients.

Recherches cliniques ouvertes aux inclusions

Retrouver tous les protocoles thérapeutiques sur notre site internet [Les protocoles de recherche clinique](#)

Protocole thérapeutique - PHRC interrégional ANDROTELO (NCT 03710356)

Protocole thérapeutique ALX 1210-303 - Alexion

Protocole thérapeutique APL2-302 (PEGASUS) – Appellis (NCT 03500549)

Protocole thérapeutique (COMPOSER) – Roche (NCT 03157635)

Observatoire et biobanque RIME des insuffisances médullaires [Observatoire RIME](#).

Livret d'information aux patients sur la prise en charge d'une aplasie médullaire – [Edition décembre 2019](#)