

Protocole PERFORMUS : Superficial slow-flow vascular malformations treated with sirolimus

ClinicalTrials.gov Identifiant : NCT02509468

PHRCN 2014 - Promoteur : CHRU DE TOURS

Investigateur coordinateur : Pr Annabel MARUANI

Résumé du protocole :

Les malformations vasculaires (MV) sont hémodynamiquement divisées en MV de haut débit et MV de bas débit (MV capillaires, veineuses, lymphatiques).

L'objectif de cette étude est de tester le sirolimus (inhibiteur de mTOR) par voie orale chez les enfants de 6 à 18 ans ayant une MV de bas débit compliquée, ne répondant pas aux thérapies conventionnelles. Le sirolimus inhibe directement mTOR, protéine qui intervient dans la croissance et la prolifération cellulaires, l'angiogenèse et la lymphangiogenèse. Les critères d'évaluation sont l'imagerie (IRM) et la clinique (patient et médecin)

Principaux critères d'inclusion :

Enfants de 6 à 18 ans, ayant une malformation vasculaire à flux lent (lymphatique/veineuse) compliquée, confirmée par IRM, incluse ou non dans un syndrome génétique (hormis malformation lymphatique macrokystique), ne mettant pas en jeu le pronostic vital

Principaux critères de non inclusion :

- Malformation vasculaire mettant en jeu le pronostic vital ;
- Toute contre-indication au sirolimus (vaccinations non à jour, allergie à la molécule ou à ses excipients, immunosuppression, infection chronique, hémopathie, insuffisance hépatique, possibilité d'une grossesse)
- Toute contre-indication à la réalisation d'une IRM

Avancement du protocole :

Inclusions terminées (64 enfants), suivi des enfants en cours

Liste des centres investigateurs :

Services de dermatologie de : CHU Tours, CHU Angers, CHU Dijon, CHU Grenoble, CHU Lyon, CHU Marseille, CHU Montpellier, CHU Nantes, CHU Nice, Paris AP-HP Necker, CHU Rennes, CHU Toulouse