

TOPICAL : Sirolimus topique 0,1% dans les malformations cutanées lymphatiques microkystiques : essai thérapeutique de phase II, randomisé, en double aveugle, en comparaison intra-individuelle versus véhicule

ClinicalTrials.gov Identifiant : NCT03972592

PHRCN 2017 - Promoteur : CHRU DE TOURS

Investigateur coordinateur : Pr Annabel MARUANI

Résumé :

Les malformations vasculaires lymphatiques microkystiques cutanées (MLMC) se présentent comme des amas de petites vésicules séro-sanglantes, très gênantes (suintements, saignements, gêne esthétique, etc.). Elles peuvent s'associer à des malformations lymphatiques sous-jacentes.

Le sirolimus est un médicament pris par voie orale qui inhibe directement mTOR, protéine qui intervient dans la croissance et la prolifération cellulaires, l'angiogenèse et la lymphangiogenèse. Il est utilisé dans les malformations vasculaires compliquées. La voie locale (topique) n'est pas commercialisée.

L'objectif de cette étude est de comparer le sirolimus en préparation magistrale 0,1% sur une zone de la MLMC, ou elle sera appliquée pendant 3 mois, à une crème placebo (véhicule), appliquée sur une autre zone de la MLMC. Au bout des 3 mois d'application des 2 produits (en aveugle), l'ensemble de la MLMC sera traité par sirolimus topique 0,1%.

Principaux critères d'inclusion :

Sujets d'au moins 6 ans, enfants et adultes, ayant une malformation lymphatique microkystique cutanée (lymphangiectasies) d'au moins 20 cm², avec ou sans anomalies associées et profondes, gênantes

Principaux critères de non inclusion :

- Patients traités par inhibiteur de mTOR par voie systémique
- Toute contre-indication au sirolimus (allergie à la molécule ou à ses excipients, immunosuppression, infection chronique, hémopathie, insuffisance hépatique, possibilité d'une grossesse)

Avancement du protocole :

Recrutement en cours (55 sujets attendus)

Liste des centres investigateurs :

Services de dermatologie de : CHU Tours, CHU Angers, CHU Bordeaux, CHU Caen, CHU Dijon, CH Le Mans, CHU Lyon, CHU Marseille, CHU Montpellier, CHU Nancy, CHU Nantes, CHU Nice, Paris AP-HP-Necker, CH Quimper, CHU Rennes, CHU Toulouse