



AA-REGN7257

**Une étude de phase 1/2 sur REGN7257
(anticorps monoclonal gamma [IL2RG] de la
sous-unité du récepteur anti-interleukine 2)
chez des patients atteints d'anémie aplasique
sévère réfractaire ou en rechute sous
traitement immunosuppresseur**

Investigateur principal : Régis PEFFAULT DE LATOUR



<https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04409080>

Population cible : patients atteints d'anémie aplasique sévère (AAS) réfractaire ou en rechute sous traitement immunosuppresseur (TSI)

Traitement à l'étude : REGN7257 – anticorps monoclonal anti sous-unité gamma du récepteur de l'interleukine 2 (IL2RG)

Schéma de traitement :

- Injection de dose unique IV

Rythme des visites :

- Hospitalisation de nuit prévue à J1
- J4, J8, J15, J22, J29 puis 1 fois par mois jusqu'à J270 puis une dernière visite à J365

Critères d'inclusion	O	N
1. Patient âgé de ≥ 18 ans		
2. AAS qui est réfractaire ou qui a rechuté pendant un TSI de soins standard		
3. La greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) n'est pas disponible ou ne convient pas comme option de traitement ou a été refusée par le patient (la candidature pour la GCSH sera déterminée par la pratique locale)		
4. Adequate hepatic function, defined as: <ul style="list-style-type: none">- Bilirubine totale $\leq 1,5$ x LSN- Transaminase (ALT, AST) $\leq 2,5$ x LSN- Phosphatase alcaline $\leq 2,5$ x LSN Les patients ayant des antécédents documentés de syndrome de Gilbert n'ont pas besoin de satisfaire à cette exigence en bilirubine totale à condition que la bilirubine totale soit inchangée par rapport à la valeur de base.		
5. Fonction rénale adéquate, définie comme: <ul style="list-style-type: none">- DFG estimé ≥ 60 mL / min / 1,73 m² tel que calculé par CKD-EPI		
6. Patient disponible et capable de se conformer aux visites cliniques et aux procédures liées à l'étude		
7. Patient capable de comprendre et de compléter les procédures liées à l'étude		
8. Patient ou représentant légalement acceptable capable de donner son consentement éclairé		

Critères d'exclusion	O	N
1. Diagnostic de l'anémie de Fanconi via un test de rupture chromosomique ou un arrêt de croissance par cytométrie en flux ou d'autres syndromes d'insuffisance médullaire congénitale connus (tels que, mais sans s'y limiter, la dyskératose congénitale ou le syndrome de Shwachman-Diamond)		
2. Preuve d'un syndrome myélodysplasique, défini par la présence de caractéristiques myélodysplasiques, d'un excès de blastes ou d'anomalies caryotypiques typiques du SMD (selon les critères révisés de l'OMS 2008) ou d'une leucémie en cytogénétique.		
3. Hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) avec signes d'hémolyse significative ou antécédents de thrombose associée à l'HPN		
4. Traitement par un agent de déplétion des lymphocytes T (p. Ex., ATG ou alemtuzumab) dans les 6 mois précédant l'administration		
5. Traitement avec un inhibiteur de la calcineurine (par exemple, la cyclosporine) dans les 4 semaines précédant l'administration		
6. Traitement par eltrombopag ou par un agoniste expérimental des récepteurs de la thrombopoïétine dans les 2 semaines précédant l'administration		
7. Traitement par G-CSF dans les 2 semaines précédant l'administration		
8. Traitement par un androgène (p. Ex., Danazol) dans les 2 semaines précédant l'administration		
9. Traitement par tout traitement immunosuppresseur expérimental, y compris REGN7257, dans les 6 mois ou l'équivalent de 5 demi-vies (selon la plus longue des deux) avant l'administration		
10. Malignité ou carcinome sous-jacent (sauf cervical local, basocellulaire, épidermoïde ou mélanome)		
11. VIH, hépatite B ou hépatite C positifs par test sérologique lors de la visite de dépistage		
12. Tuberculose évolutive, infection tuberculeuse latente (ITL) ou antécédents de tuberculose ou ITL incomplètement traitée. Les patients seront dépistés pour la LTBI par le test de libération d'IFN γ et diagnostiqués selon les directives locales.		
13. Infection ne répondant pas adéquatement au traitement approprié ou fièvre inexplicquée > 38 ° C dans les 2 semaines précédant l'administration		
14. Virémie CMV ou EBV détectable et quantifiable par PCR		

<p>15. Analyse d'urine de dépistage montrant l'un des éléments suivants:</p> <ul style="list-style-type: none"> - > 10 (+) GR / μL et/ ou présence de globules rouges coulés dans les sédiments urinaires - >25 (+) GB /μL 		
<p>16. Hypersensibilité connue à tout composant du produit formulé</p>		
<p>17. Traitement / prophylaxie avec un vaccin vivant dans les 6 semaines précédant l'administration</p>		
<p>18. État moribond ou maladie concomitante hépatique, rénale, cardiaque, neurologique, pulmonaire, infectieuse ou métabolique d'une gravité telle qu'elle empêcherait le patient de tolérer le protocole de traitement</p>		
<p>19. Les membres de l'équipe d'étude du site clinique et/ ou leur famille immédiate, sauf approbation préalable accordée par le promoteur</p>		
<p>20. Femmes enceintes ou allaitantes</p>		
<p>21. Femmes en âge de procréer qui ne sont pas disposées à pratiquer des méthodes de contraception hautement efficaces avant la dose initiale / le début du premier traitement, pendant l'étude ou pendant au moins 4 mois après la dernière dose (selon la durée la plus longue)</p>		