

Titre	Étude de phase III à répartition aléatoire et à double insu évaluant l'innocuité et l'efficacité du vénétoclax en association avec l'azacitidine chez des patients ayant récemment reçu un diagnostic de syndrome myélodysplasique (SMD) à risque accru
Protocole ID	Verona (M15-954)
ClinicalTrials.gov ID	NCT04401748
Type(s) de cancer	Syndrome myélodysplasique
Phase	Phase III
Type étude	Clinique
Médicament	Vénétoclax en association avec l'azacitidine
Institution	CHU DE QUEBEC – UNIVERSITE LAVAL  HOPITAL DE L'ENFANT-JESUS 1401 18e Rue, Québec, QC, G1J 1Z4
Ville	
Investigateur principal	Dr Robert Delage
Coordonnateur	Philippe Nadeau 418-649-0252 poste 63115
Statut	Fermé
But étude	<p>Le syndrome myélodysplasique (SMD) est un ensemble de troubles qui réduisent progressivement la capacité de la moelle osseuse (tissu semi-liquide présent dans de nombreux os comme la colonne vertébrale) d'une personne à produire des cellules sanguines normales. Certaines personnes atteintes de SMD risquent de voir leur maladie évoluer vers une leucémie myéloïde aiguë (LMA) et de mourir de la maladie elle-même. Les symptômes du SMD comprennent la fatigue, l'essoufflement, une pâleur inhabituelle due à l'anémie (faible nombre de globules rouges), une propension aux ecchymoses ou la présence inhabituelle d'ecchymoses, et la présence de plaques rouges sous l'épiderme causées par des saignements. L'objectif de cette étude est de déterminer l'innocuité et l'efficacité de l'association de vénétoclax et d'azacitidine (AZA) par rapport à l'AZA et à un placebo (ne contenant aucun médicament), chez des participants ayant récemment reçu un diagnostic de SMD à risque accru. Le vénétoclax est un médicament expérimental en cours de développement pour le traitement du SMD. L'étude comporte deux groupes de traitement : dans un groupe, les participants recevront le vénétoclax et l'AZA; dans un autre groupe, les participants recevront l'AZA et un placebo. Des participants adultes ayant récemment reçu un diagnostic de SMD à risque accru seront recrutés. Environ 500 participants seront inscrits dans quelque 200 sites dans le monde entier. Les participants d'un groupe recevront des doses de vénétoclax en comprimés par voie orale et d'une solution d'AZA par voie intraveineuse (perfusion dans la veine) ou sous-cutanée (administration sous la peau). Les participants d'un autre groupe recevront des doses d'un placebo en comprimés par voie orale et d'une solution d'AZA par voie intraveineuse ou sous-cutanée. Il se peut que la charge de traitement des participants à cet essai soit plus élevée que la norme de soins qu'ils reçoivent. Les participants se rendront régulièrement dans un hôpital ou une clinique pendant la durée de l'étude. L'effet du traitement sera vérifié par des évaluations médicales, des tests sanguins et des tests de moelle osseuse, la vérification des effets secondaires et le remplissage de questionnaires.</p>
Critères d'éligibilité	<ul style="list-style-type: none">• Participants ayant reçu un diagnostic de syndrome myélodysplasique (SMD) selon la classification de 2016 de l'Organisation mondiale de la santé (OMS) et présentant < 20 % de cellules blastiques dans la moelle osseuse observée par biopsie/aspiration de moelle lors de la sélection.• Le participant doit satisfaire aux critères suivants d'activité de la maladie :• Score global du système IPSS-R (Revised International Prognostic Scoring System) > 3 (intermédiaire, élevé ou très élevé).

- Indice fonctionnel de l'Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG) ≤ 2 .
- Admissible à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) sans GCSH prévue au moment du jour 1 de l'étude, ou inadmissible à une GCSH sans GCSH prévue au moment du jour 1 de l'étude.

Critères d'exclusion

- Traitement antérieur du SMD avec un agent hypométhylant, une chimiothérapie ou une allogreffe de cellules souches.
- Diagnostic antérieur de SMD lié au traitement, de SMD évoluant à partir d'un néoplasme myéloprolifératif (NMP) préexistant ou de SMD/NMP, c'est-à-dire leucémie myélomonocytaire chronique (LMMC), leucémie myéloïde chronique atypique (LMCa), leucémie myélomonocytaire juvénile (LMMJ) et SMD/NMP inclassables.