



Commission Essais thérapeutiques pédiatriques



Léa THEVENET, François RIVIER

Neuropédiatrie - CRMR Maladies Neuromusculaires AOC

CHU de Montpellier

CIC 1411 INSERM/CHU de Montpellier

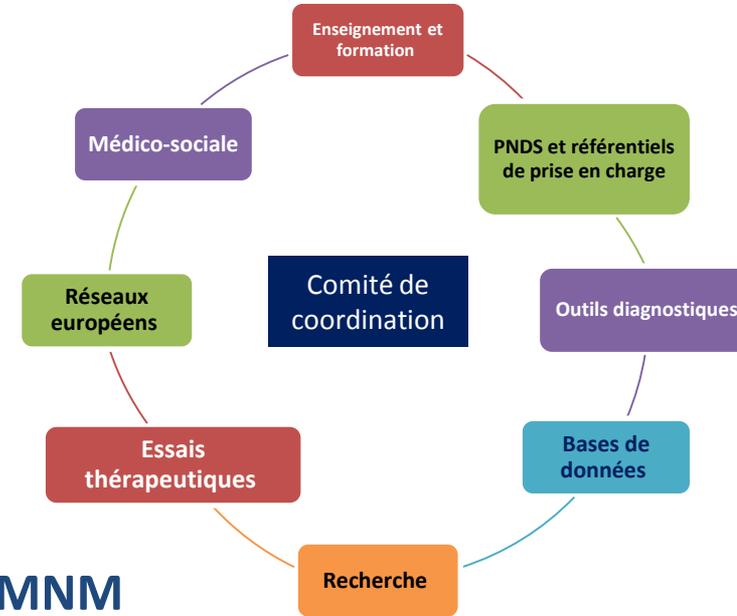
UMR CNRS 9214 – Inserm U1046

Université de Montpellier



ComET-Filnemus-Ped ?

- ❑ 2014: PNMR-2 → Filière santé MR → Filnemus
- ❑ 8 commissions dont : Essais thérapeutiques
Shahram Attarian, Pascal Laforêt, François Rivier
- ❑ Projet de réseau national essais thérapeutiques MNM
 - 2016 : ComET-Filnemus
 - 2017 : ComET-Filnemus-Ped



ComET-Filnemus-Ped : Objectifs ?

- Favoriser la réalisation et le bon déroulement des essais thérapeutiques
- Renforcer les liens fonctionnels entre les différentes équipes partenaires
- Améliorer l'accès aux essais thérapeutiques pour l'ensemble des patients

ComET-Filnemus-Ped : Organisation ?



ComET-Filnemus-Ped : Organisation ?

2019

Création du comité de pilotage : 15 membres

Comité de pilotage		
Centre de référence des maladies neuromusculaires PACA- Réunion- Rhône Alpes	Centre de référence des maladies neuromusculaires Nord/Est/Ile de France	Centre de référence des maladies neuromusculaires Atlantique Occitanie Caraïbe (AOC)
Carole VUILLEROT (Lyon)	Vincent LAUGEL (Strasbourg)	Juliette ROPARS (Brest)
Herve TESTARD (Grenoble)	Pascal SABOURAUD (Reims)	CANCES C (Toulouse)
Catherine SARRET (Clermontferrand)	Helge AMTHOR (Paris)	Yann PEREON (Nantes)
C.RICHELME (Nice)	Christine BARNERIAS (Paris)	Caroline ESPIL (Bordeaux)
Frederique AUDIC (Marseille)	Arnaud ISAPOF (Paris)	François Rivier (Montpellier)

ComET-Filnemus-Ped : Organisation ?

Membres du réseau : 34 membres *Mis à jour le 08/10/2020*

CRMR PACA - Réunion - Rhône Alpes

Carole VUILLEROT
Hervé TESTARD
Catherine SARRET
Frédérique AUDIC
Christian RICHELME
Brigitte CHABROL

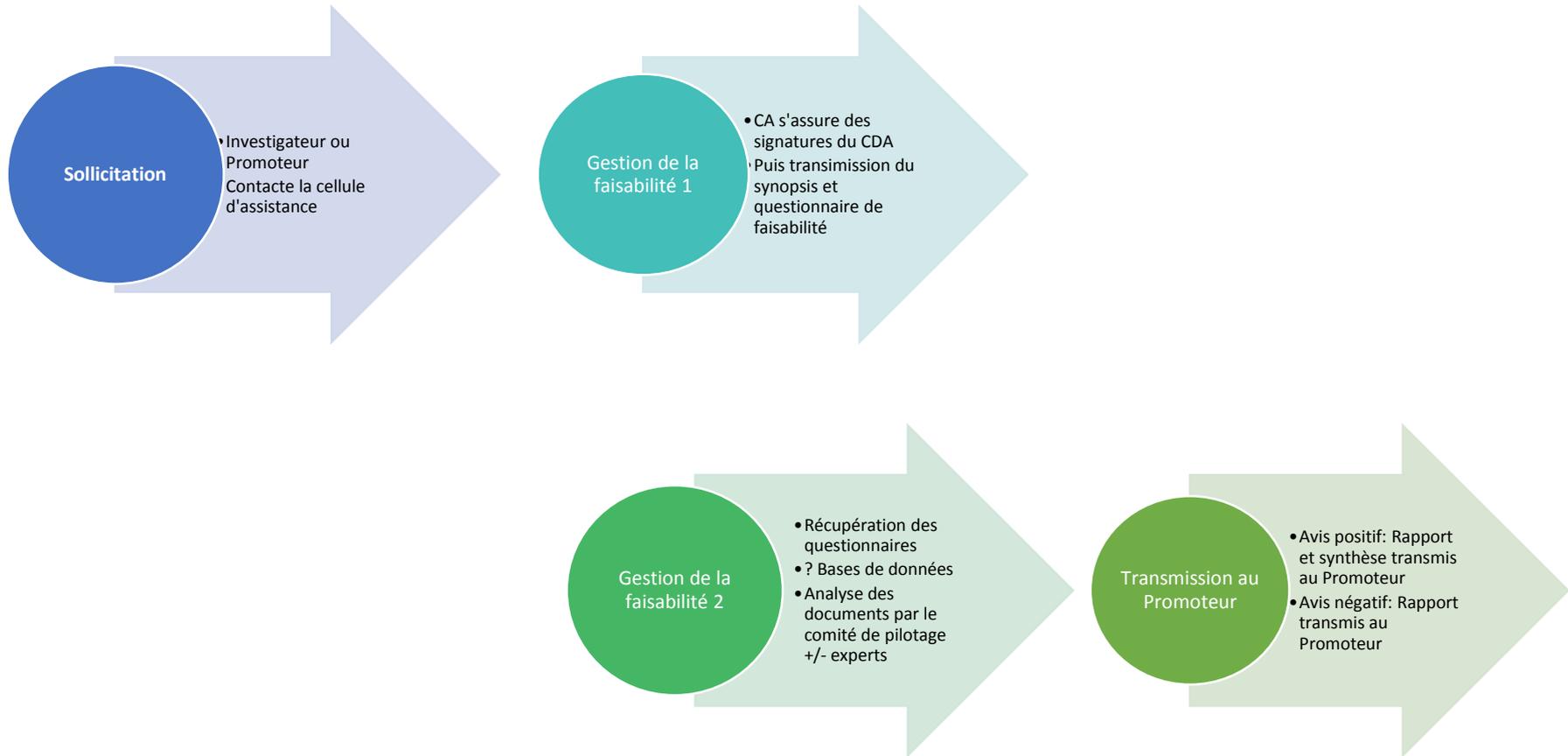
CRMR Nord/Est/Ile de France

Vincent LAUGEL
Helge AMTHOR
Christine BARNERIAS
Arnaud ISAPOF
Jean-Marie CUISSET
Isabelle DESGUERRE
Susana QUIJANO ROY
Mondher CHOUCANE
Anne-Gaëlle LE MOING
Pascal SABOURAUD
Catherine VANHULLE
Jean Baptiste DAVION
Andrea SEFERIAN
De Lucia SILVANA
Odile BEOSPFLUG
Marta GOMEZ GARCIA DE LA BANDA
Andoni URTIZBEREA

CRMR AOC

Juliette ROPARS
Claude CANCES
Yann PEREON
Caroline ESPIL
François RIVIER
Leïla LAZARO
Julien DURIGNEUX
Emmanuelle LAGRUE
Pierre BEZE BEYRIE
Ulrike WALTHER LOUVIER
Elisabeth SARRAZIN

ComET-Filnemus-Ped : Fonctionnement ?



ComET-Filnemus-Ped : Fonctionnement ?

Adaptation du fonctionnement à partir de début 2020 :

- Mise en place de **binôme de garde** / trimestre au sein du CP.
- **Répondre aux questions de « pré faisabilité »** demandé par les promoteurs, avant même quelquefois de signer un CDA.
- Travail en étroite collaboration avec les **curateurs de la base UMD-DMD** (Sylvie Tuffery, France Leturcq, Rabah Ben Yaou)
- **Réunion webex** accolée à celle de la commission SFNP MNM, mais indépendante avec code spécifique uniquement pour les membres du comité de pilotage.

Adhésion ?

- Etre responsable/représentant d'un CCMR ou CRMR MNM
- Renseigner et faire signer le **formulaire d'adhésion**
- **Contacts**
 - François Rivier : f-rivier@chu-montpellier.fr
 - Léa Thévenet : l-thevenet@chu-montpellier.fr



Formulaire d'Adhésion

Je soussigné, **Nom :**

Prénom :

En qualité de **Représentant** de l'équipe pédiatrique (nom du site/CHU) :

Dépendant du Centre de Référence (nom/CHU), ou du Centre de Compétence (nom/CHU) :

Nom du responsable du centre :

Coordonnées :

Adresse postale :

Email :

Tel :

Fax :

Souhaite que l'équipe que je représente adhère au réseau **ComET-Filnemus-Ped**.

L'équipe que je représente déclare avoir pris connaissance de la **version du : .../.../...** de la Charte de fonctionnement du réseau **ComET-Filnemus-Ped**, et s'engage à respecter cette charte en particulier la confidentialité concernant toutes les informations qui me seront transmises.

Fait à , le .../.../...

Signature :

☐

Avis☐

Du☐responsable☐du☐centre☐

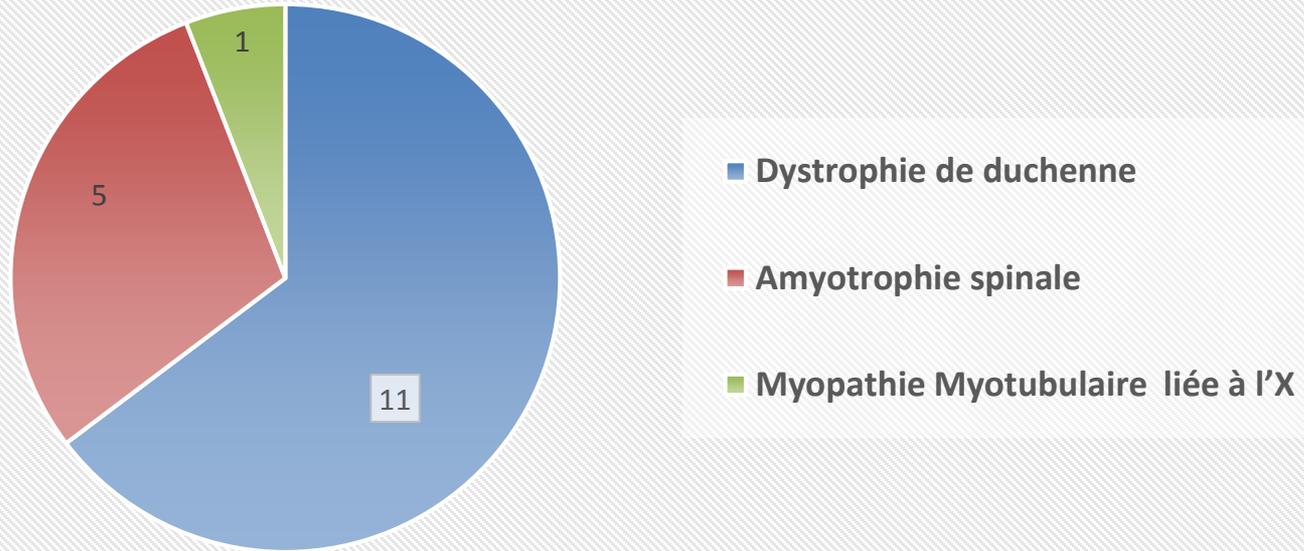
Nom☐☐☐ ☐ ☐ Prénom☐☐☐ ☐ ☐ ☐ Signature☐

Du☐responsable☐du☐CCMR☐coordonnateur☐

Nom☐☐☐ ☐ ☐ Prénom☐☐☐ ☐ ☐ ☐ Signature☐

Données juin 2020

Nombre Essais industriels sur l'année 2019/2020



Données juin 2020

Dystrophie de Duchenne : Essais en cours sur l'année 2020

- **SIDEROS et SIDEROS E (Santhera) → Arrêt de l'étude cette semaine (résultats de l'analyse intermédiaire défavorable, bénéfice non significatif)**
- SYROS2 (Santhera)
- ESSENCE et ESSENCE E (Sarepta)
- SRP 4658 102 (Sarepta)
- SRP4658 102 OLE (Sarepta)
- ITALFARMACO
- IND STRIDE Translarna Registry (PTC Therapeutics INC)
- SPITFIRE(Roche)
- NEBIDYS (APHP AFM)

→ Essais Thérapeutiques à venir DMD:

- AVANCE 1 (SQY Synthena)
- SRP 4658 402 (Sarepta)
- TAMDMD (University hospital basel)
- SRP 9001 (Sarepta)
- Pfizer (Thérapie génique)

Données juin 2020

Amyotrophie Spinale : Essais en cours sur l'année 2020

- JEWELFISH (Roche)
- SUNFISH (Roche)
- FIREFISH (Roche)
- OLEOS (Roche)
- IONIS-CS11-SHINE (Biogen)

→ Essais thérapeutiques à venir SMA

- DEVOTE (Biogen)
- AVXS101 (AVEXIS) à venir

- **MYOPATHIE MYOTUBULAIRE liée à l'X** (ASPIRO-audentes)
- **LGMD2C γ -SARCOGLYCANE** (Sarepta MYO 103) → à venir
- **Déficit en thymidine kinase de type 2** (Protocol MT-1621-104 entitled- Modis Therapeutics) → à venir



- Réunion COMET 20 novembre 2019 – Lieu : Marseille
- Réunion COMET, 01 avril 2020
- Réunion Webex COMET, 15 avril 2020
- Réunion « en urgence » Webex COMET, 2 juin 2020 ESSAIS PFIZER
- Réunion Webex COMET, 10 juin 2020
- Réunion « en urgence » Webex COMET, 2 juillet 2020 ESSAIS GENETEHON

- **Communauté pédiatrique active**
- **Adaptations des objectifs du réseau ComET-Filnemus-Ped**
 - ➔ **Répondre aux demandes de pré faisabilité +++**
- **Amélioration de notre réactivité aux demandes des promoteurs**
- **Démocratiser la participation de tous aux essais thérapeutiques**