

ACRONYME	HAPLO-EMPTY
Titre	Haploidentical allogeneic hematopoietic stem cell transplantation with post-transplant cyclophosphamide in patients with acquired aplastic anemia refractory or in relapse after immunosuppression : a nationwide phase II study
Domaine thérapeutique	Aplasie médullaire acquise
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Peffault de Latour Régis
Typologie réglementaire	RIPH1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	05126849
Population cible	Patient âgé de 3 à 35 ans atteint d'aplasie médullaire réfractaire ou en rechute après une première ligne d'immunosuppression
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Agés de 3 à 35 ans</li> <li>• Présentant une aplasie médullaire acquise idiopathique réfractaire (ayant reçu au moins une ligne de traitement immunosuppresseur par un sérum anti-lymphocytaire)</li> <li>• Absence de donneur géno-identique ou donneur non apparenté HLA 10/10 - Identification d'un donneur haplo-identique (frère, sœur, parents, enfant adulte ou cousin)</li> <li>• Absence d'anticorps spécifique du donneur avec un seuil de détection (MFI) <math>\geq 1500</math>, détecté chez le patient (anticorps dirigés contre l'haplotype distinct entre le donneur et le receveur)</li> <li>• Avec les critères usuels pour la greffe</li> </ul>
Date de début	06/01/2022
Date de fin	06/01/2029
ACRONYME	HAPLO-RESCUE
Titre	Haploidentical allogeneic hematopoietic stem cell transplantation with post-transplant cyclophosphamide for rescuing patients with graft failure: a phase II study
Domaine thérapeutique	Toute hémopathie maligne ou non maligne
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Peffault de Latour Régis
Typologie réglementaire	RIPH1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	5126186
Population cible	Patients âgés de plus de 3 ans avec une maladie hématologique et présentant une non prise primaire ou secondaire de greffe dans les 120 jours après une 1 <sup>ère</sup> allogreffe
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aged from 3 to 70 years</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• All hematological diseases</li> <li>• Suffering from primary or secondary (within the 120 days post-transplantation) graft failure after a 1st alloSCT</li> <li>• With usual criteria for allo-SCT</li> <li>• With identification of a haploidentical donor (brother, sister, parents, adult children or cousin)</li> <li>• Absence of donor specific antibody (DSA) detected in the patient with a MFI <math>\geq</math> 1500 (antibodies directed towards the distinct haplotype between donor and recipient)</li> </ul>
Date de début	07/04/2022
Date de fin	07/04/2029
<b>ACRONYME</b>	<b>MAC-HAPLO-MUD</b>
Titre	Randomized prospective Phase III clinical trial comparing HLA 10/10 matched unrelated donor and haploidentical allogeneic hematopoietic stem cell transplantation after myeloablative conditioning regimen
Domaine thérapeutique	Hémopathie maligne
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Peffault de Latour Régis
Typologie réglementaire	RIPH1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	03655145
Population cible	Patients 15 years of age or older with high risk hematological malignancies and with an indication of allogeneic hematopoietic stem cell transplantation
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aged 15 to 55 years old - With AML/ALL/SMD/SMP requiring allogeneic stem cell transplantation -In complete response (CR) for AML/ALL or CR, partial response (PR) or non pre-treated for SMD/SMP</li> <li>• Without a HLA matched related donor available</li> <li>• With a good probability to have a HLA-10/10 matched donor available identified within the book "BMDW</li> <li>• With identification of a haploidentical donor</li> <li>• With usual criteria for HSCT</li> </ul>
Date de début	19/09/2018
Date de fin	19/09/2028
<b>ACRONYME</b>	<b>Haplo-FANCONI</b>
Titre	Essai de phase 2 de faisabilité de la greffe haplo-identique avec administration de fortes doses de cyclophosphamide post-greffe dans la maladie de Fanconi
Domaine thérapeutique	Maladie de Fanconi

Coordonnateur/responsable scientifique	Dr Sicre de Fontbrune
Typologie réglementaire	RIPH3
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	05903365
Population cible	Patient atteint de la maladie de Fanconi présentant une évolution clonale
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Patient atteint d'une maladie de Fanconi confirmée par un test de cassures chromosomiques et/ou une analyse génétique</li> <li>• âgé de 6 mois à 60 ans révolus - avec une pancytopenie sévère (2 critères parmi les suivants réticulocytes &lt; 60 G/L, PNN &lt; 0.5 G/L et/ou plaquettes &lt; 20 G/L ou patients ayant reçu plus de 6 transfusions au cours des 12 derniers mois)</li> <li>• avec une évolution clonale (cytogénétique de mauvais pronostique, syndrome myélodysplasique ou leucémie aigue)</li> <li>• ayant un donneur haploidentique non atteint</li> </ul>
Date de début	22/03/2024
Date de fin	22/12/2028
ACRONYME	<b>OPTISAGE</b>
Titre	Phase III study comparing GVHD prophylaxis with ATG-thymoglobulin to ATLG-grafalon in elderly patients with acute myeloid leukemia or myelodysplastic syndrome and receiving an allogeneic hematopoietic stem cell transplantation with a 10/10 HLA matched unrelated donor following a reduced intensity conditioning regimen by fludarabine-treosulfan
Domaine thérapeutique	AML/MDS
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Peffault de Latour
Typologie réglementaire	REC /Faible intervention
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	06083129
Population cible	Patients above 50 years of age presenting AML or MDS with an indication for allogeneic stem cell transplantation
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Age <math>\geq</math> 50 and <math>\leq</math> 70 years</li> <li>• Patient between 50 and 55 years should be unfit for a myeloblastic conditioning. 3. AML requiring allogeneic stem cell transplantation (intermediate or high-risk AML) in complete cytologic response (CR1 or above) or MDS requiring allogeneic stem cell transplantation (IPSS<math>\geq</math> 1.5 or IPSS-R &gt; 4.5 or IPSS-R &gt; 3-4.5 with risk features [rapide blast increase, life-threatening neutropenia (2/month for 6 months)])</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Without an HLA matched related donor 5</li> <li>• Having an identified matched HLA 10/10 unrelated donor 6</li> <li>• With usual criteria for HSCT</li> </ul>
Date de début	28/11/2023
Date de fin	28/11/2028
ACRONYME	<b>APARR</b>
Titre	Evaluation of an optimized allogeneic hematopoietic stem cell transplantation protocol with post-transplant cyclophosphamide in patients aged 40 to 60 years old with acquired aplastic anemia refractory or in relapse after immunosuppression
Domaine thérapeutique	Acquired aplastic anemia
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Peffault de Latour
Typologie réglementaire	RIPH1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	06646497
Population cible	Patients aged from 40 to 60 years with refractory/relapse AA after IST eligible to HSCT
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aged from 40 to 60 years old</li> <li>• Suffering from acquired refractory severe idiopathic aplastic anemia after at least 6 months treatment with anti-thymocyte globulin and cyclosporine with t Eltrombopag or in relapse</li> <li>• Allograft validated in the National Multidisciplinary expertise meetings of the French reference centre for aplastic anemia</li> <li>• With an available geno-identical donor or 10/10 matched donor or haploidentical donor</li> <li>• With the absence of donor specific antibody detected in the patient with a MFI &lt; 1500 (antibodies to the distinct haplotype between donor</li> <li>• Usual criteria for HSCT</li> </ul>
Date de début	07/01/2025
Date de fin	07/01/2029
ACRONYME	<b>RIME</b>
Titre	Observatoire NatioNal des insuffisances médullaires Création d'une base de données clinico-biologiques prospective avec constitution d'une collection d'échantillons biologiques
Domaine thérapeutique	Insuffisances médullaires
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Peffault de Latour Régis
Typologie réglementaire	RIPH3

Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	04781790
Population cible	Toute aplasie médullaire acquise et constitutionnelle
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Aplasie médullaire idiopathique</li> <li>- Hypoplasie médullaire d'origine constitutionnelle (Maladie de Fanconi, Dyskératose Congénitale, syndrome GATA2/MonoMAC, autres) ou supposée l'être</li> <li>- Myélodysplasie hypoplasique</li> <li>- Myélodysplasie du sujet jeune (<math>\leq 50</math> ans)</li> <li>- Myélodysplasie ou leucémie aigüe myéloïde familiale</li> </ul>
Date de début	17/01/2017
Date de fin	Suivi indéfini
ACRONYME	<b>FIRST ALLO MDS</b>
Titre	UPFRONT RELATED DONOR TRANSPLANTATION IN PATIENTS WITH MYELOYDYSPLASTIC SYNDROME: A PHASE 2 TRIAL
Domaine thérapeutique	Syndrome myélodysplasique
Coordonnateur/responsable scientifique	Dr Marie Robin
Typologie réglementaire	RIPH1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	06235398
Population cible	Adults (50 years and older) patients with MDS diagnosis for whom transplantation is indicated from a related donor identified.
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Age <math>\geq 50</math> and <math>\leq 70</math> years</li> <li>• An HLA matched sibling donor or familial haplo-identical donor has been identified</li> <li>• The disease fulfills at least one of the following criteria: <ul style="list-style-type: none"> <li>o Intermediate-2 or high risk according to classical IPSS</li> <li>o Intermediate-1 risk if marrow fibrosis <math>&gt;</math> grade I or poor risk cytogenetics according to R IPSS or classified high or very high risk according to R IPSS or if the MDS is therapy-related neoplasm 7</li> <li>o IPSS molecular high</li> </ul> </li> <li>• Usual criteria for HSCT</li> </ul>
Date de début	25/07/2024
Date de fin	25/07/2028
ACRONYME	<b>ERYTHROSIM</b>
Titre	Randomized prospective trial evaluating the efficacy of the antiCD38 monoclonal antibody isatuximab in the treatment of PCRA by major ABO mismatch after allogeneic hematopoietic stem cell transplantation

Domaine thérapeutique	Immunological pure red cell aplasia (PRCA) after transplant
Coordonnateur/responsable scientifique	Dr Xhaard Aliénor
Typologie réglementaire	REC, Phase2
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	05559827
Population cible	Allogeneic stem cell transplant recipient 15 years of age or older with PRCA
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aged 15 years or older</li> <li>• Having receiving an allogeneic hematopoietic stem cell transplantation in condition of major ABO mismatch PCRA defined by persistent red blood cell transfusion dependence at day 60 post-transplant with reticulocytes count under 10 G/L despite full donor chimerism and a good leucocytes (&gt;1 G/L) and platelet (&gt;50G/L) recovery</li> <li>• No relapse or progression of underlying disease</li> </ul>
Date de début	20/02/2023
Date de fin	20/02/2027
ACRONYME	<b>DLI BOOST</b>
Titre	Immunothérapie allogénique des hémopathies malignes par déplétion sélective des lymphocytes T régulateurs : essai confirmatoire randomisé en double aveugle
Domaine thérapeutique	LA primitive ou secondaire, SMD, syndrome lymphoprolifératif (LLC, myélome, lymphome) ou syndrome myéloprolifératif.
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Marie ROBIN
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	03236129
Population cible	Enfant ou adulte de tout âge atteint de leucémie aiguë primitive ou secondaire, Syndrome Myélodysplasique (SMD), syndrome lymphoprolifératif (Leucémie Lymphoïde Chronique (LLC), myélome, lymphome) ou syndrome myéloprolifératif.
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>•Allogreffe antérieure de CSH (conditionnement myélo-ablatif ou non myélo-ablatif) provenant d'un donneur familial avec complexe majeur d'histocompatibilité humain (HLA) géno- ou haplo-identique ou d'un donneur volontaire HLA 10/10 ou 9/10.</li> <li>•Rechute moléculaire, cytogénétique, ou cytologique quelle qu'en soit la date après la greffe (L'ANSM, demande au promoteur de s'engager sur la validité de la progression/rechute de l'hémopathie par la</li> </ul>

	transmission par les centres investigateurs d'au moins un des documents sources permettant de définir cette progression au centre coordonnateur pour ainsi confirmer l'inclusion. De plus, si la rechute est définie par un seul point de MRD positive après plusieurs points négatifs, un second point d'analyse positif sera exigé pour éviter l'écueil d'un faux positif).
Date de début	2018
Date de fin	2028
ACRONYME	<b>HTLP-Onco-Adult</b>
Titre	Essai de Phase I/II évaluant la tolérance et l'efficacité de l'injection de précurseurs de lymphocytes T humains (HTLP) pour accélérer la reconstitution immunitaire après une greffe de sang de cordon chez les patients adultes avec hémopathie maligne
Domaine thérapeutique	Greffe de sang de cordon pour hémopathie maligne
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Nicolas Boissel
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	04707300
Population cible	
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Adultes (<math>\geq 18</math> ans et <math>&lt;66</math> ans) au moment de l'inclusion et éligible à une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogéniques et apte à recevoir un régime de conditionnement spécifique.</li> <li>- Patients atteints d'hémopathie maligne</li> <li>- Absence de donneur apparenté compatible (MSD) ou de donneur non apparenté compatible (MUD) 10/10</li> <li>- Présence d'au moins deux unités de sang de cordon avec les critères suivants *: HLA- correspond à 4/8, 5/8, 6/8, 7/8 ou 8/8 pour les locus HLA-A, -B –C et DRB1</li> <li>ET</li> <li>- Présence d'au moins une unité de sang de cordon avec les critères suivants *: <math>\geq 3 \times 10^7</math> TNC / kg ou <math>\geq 1,5 \times 10^5</math> CD34 + / kg de pré-congélation</li> </ul>
Date de début	19/07/2023
Date de fin	19/01/2029
ACRONYME	<b>VENTOGRAFT</b>
Titre	Étude de phase I-II visant à évaluer le vénétoclax suivi du vénétoclax + azacitidine et d'une perfusion de lymphocytes du donneur chez des patients atteints de SMD ou de LAM (blastes $< 30$

	%) en rechute après une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques
Domaine thérapeutique	Traitement des rechute SMD ou LAM post allogreffe de moelle
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr. Marie ROBIN
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	Groupe Francophone des Myélodysplasies (GFM)
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	05226455
Population cible	SMD ou LAM (avec blastes médullaires < 30%) en rechute après une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques
Critères principaux sélection	1- Rechute documentée d'un SMD ou d'une LAM avec blastes médullaires < 30% (avec un nombre de globules blancs < 15000/mm <sup>3</sup> ) après une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques. 2- Age ≥ 18 ans au moment de la signature du consentement. 3- ECOG ≤ 2. 4- Le patient doit avoir une fonction rénale et hépatique adéquate
Date de début	07/12/2022
Date de fin	07/06/2026
ACRONYME	<b>SMART IMMUNE SI 101-02</b>
Titre	Essai clinique de phase I/II, en ouvert, randomisé, non comparatif et multicentrique évaluant la sécurité et l'efficacité de SMART101 après une greffe partiellement compatible de cellules souches du sang périphérique suivie de l'administration de cyclophosphamide en post-greffe chez des patients atteints d'hémopathies malignes.
Domaine thérapeutique	Hémopathies malignes
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Peffault de Latour Régis
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	SMART IMMUNE
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	05768035
Population cible	Patients atteints de leucémie aiguë ou de syndrome myélodysplasique et éligibles pour une greffe partiellement compatible avec cyclophosphamide post-greffe seront recrutés dans l'étude
Critères principaux sélection	- Les patients atteints de leucémie myéloïde aiguë, de leucémie lymphoblastique aiguë ou de syndrome myélodysplasique éligibles pour une GCSH allogénique avec un donneur partiellement compatible



	<p>(haploidentique ou non-apparenté 9/10) avec cyclophosphamide post-greffe.</p> <p>En cas de présence dans la moelle osseuse de cellules blastiques <math>\geq 5\%</math>, l'investigateur doit contacter le Sponsor pour évaluation et décision finale de l'éligibilité.</p> <p>Note : L'éligibilité à la GCSH avec PT-Cy standard sera basée sur les critères de chaque institution.</p> <p>- Les patients doivent être âgés de <math>\geq 18</math> ans au moment de la signature du formulaire de consentement.</p>
Date de début	18/04/2023
Date de fin	18/10/2026
ACRONYME	<b>TMF ALLO</b>
Titre	Transplantation de microbiote fécal dans la prévention de la réaction du greffon contre l'hôte après allogreffe de cellules souches hématopoïétiques pour une hémopathie maligne
Domaine thérapeutique	Prévention de la GvH post allogreffe pour hémopathie maligne
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Marie ROBIN
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	CHU de Clermont-Ferrand
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	04935684
Population cible	Allogreffe de cellules souches hématopoïétiques avec conditionnement myélo-ablatif pour hémopathie maligne.
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Patient ayant 18 ans ou plus,</li> <li>- Affilié à un organisme de sécurité sociale,</li> <li>- Recevant une allogreffe de CSH pour une pathologie hématologique maligne,</li> <li>- Avec un conditionnement de type myélo-ablatif, une greffe de cellules souches périphériques, quel que soit le type de donneur (sauf sang de cordon),</li> </ul>
Date de début	07/11/2023
Date de fin	07/11/2028
ACRONYME	<b>MPOH08 / PHOEBUS</b>
Titre	Étude de phase IIb multicentrique, randomisée et en double aveugle évaluant MaaT033, un médicament de microbiothérapie fécale poolé dérivé de donneurs sains, sous forme orale, pour prévenir les complications des allogreffes de cellules souches hématopoïétiques
Domaine thérapeutique	Prévention de la GvH post allogreffe pour hémopathie maligne

Coordonnateur/responsable scientifique	Pr David MICHONNEAU
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	Maat Pharma
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	5762211
Population cible	Patient de 50 ans et plus atteint d'une hémopathie maligne pour laquelle une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques est indiquée avec un conditionnement à toxicité réduite ou à intensité réduite.
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Age <math>\geq</math> 50 years old</li> <li>- Presence of a hematologic malignancy for which an alloHCT is indicated with a reduced toxicity or reduced intensity conditioning regimen</li> <li>- Patients having received wide spectrum antibiotics within the last 90 days prior to inclusion</li> <li>- Availability of a sibling donor, an unrelated stem-cell donor or a familial haploidentical donor</li> </ul>
Date de début	21/12/2023
Date de fin	21/12/2026
ACRONYME	<b>FLUCLORIC</b>
Titre	Etude prospective de phase III randomisée multicentrique comparant 2 types de conditionnement d'intensité réduite (clofarabine/busulfan versus fludarabine/busulfan) chez des Patients adultes éligibles à une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques et porteurs d'une leucémie aigüe myéloblastique : une étude SFGM-TC
Domaine thérapeutique	LAM
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Marie ROBIN
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	CHU de Nanates
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	05917405
Population cible	Patients atteints de LAM en rémission complète recevant un conditionnement d'intensité réduite CloB2A2 ou FB2A2 pour l'allo-SCT.
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Âge <math>\geq</math> 18 ans</li> <li>- LAM de novo ou secondaire (selon la classification ELN 2022) en rémission cytologique complète au moment de la transplantation (numération blastique de la moelle osseuse <math>&lt; 5\%</math>) ou MSD/LAM avec numération blastique de la moelle osseuse <math>&lt; 5\%</math></li> <li>- Les patients en première ou deuxième ligne de traitement sont autorisés</li> </ul>

	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Les patients éligibles à un régime de RIC (patients âgés de plus de 60 ans ou âgés de moins de 60 ans avec une ou plusieurs co-morbidités).</li> <li>- Patient avec un donneur apparié apparenté ou non apparenté 10/10</li> <li>- Greffe utilisant des cellules souches de sang périphérique</li> </ul>
Date de début	08/11/2023
Date de fin	08/11/2028
ACRONYME	<b>FIBRAPLO</b>
Titre	Transplantation haplo-identique chez des patients atteints de myélofibrose : Etude prospective multicentrique de phase II.
Domaine thérapeutique	Myelofibrose
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Marie ROBIN
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AP-HP
Statut de l'étude	En suivi
NCT	04728490
Population cible	Patients avec une myélofibrose qui n'ont pas de contreindications pour la transplantation et qui ont une maladie avancée selon les scores internationaux pourront se voir proposer de participer à l'étude, s'ils n'ont pas de donneur HLA-compatible.
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Patients âgés entre 18 et 70 ans</li> <li>- Myélofibrose primaire ou myélofibrose secondaire à thrombocythémie ou polycythemia Vera confirmée par une biopsie de la moelle osseuse.</li> </ul>
Date de début	05/10/2021
Date de fin	2025
ACRONYME	<b>IPIG 5674-0001</b>
Titre	Registre du groupe d'intérêt international sur l'HPN
Domaine thérapeutique	Hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Régis Peffault de Latour
Typologie réglementaire	RIPH3
Promoteur de l'étude /Responsable des données	Groupe d'intérêt international sur l'HPN
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	06524726
Population cible	Patients atteints d'HPN
Critères principaux sélection	- Patients présentant une HPN confirmée par cytométrie en flux.
Date de début	24/03/2025
Date de fin	24/03/2030

ACRONYME	<b>CLNP023C12001B</b>
Titre	Extension multicentrique ouvert visant à caractériser la sécurité et la tolérance à long terme de l'iptacopan (LNP023) chez les patients atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (PNH) qui ont terminé les études de phase 2 et de phase 3 avec l'iptacopan.
Domaine thérapeutique	Hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Régis Peffault de Latour
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	NOVARTIS
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	04747613
Population cible	Patients atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (PNH) qui ont terminé les études de phase 2 et de phase 3 avec l'iptacopan.
Critères principaux sélection	Patients âgés de $\geq 18$ ans ayant reçu un diagnostic d'HPN et ayant terminé la période d'extension du traitement (sans réduction progressive) des études de phase II sur l'iptacopan (CLNP023X2204, CLNP023X2201) ou la période 4 de CLFG316X2201 ou toute étude clinique de phase III (p. ex. CLNP023C12302, CLNP023C12301, CLNP023C12303) au moment de la visite d'inclusion.
Date de début	18/11/2021
Date de fin	Indéfinie
ACRONYME	<b>COMPLETE/Sobi-PEGCET-304</b>
Titre	Étude observationnelle multicentrique à bras unique visant à évaluer l'efficacité du pegcetacoplan dans des conditions réelles chez des patients atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN).
Domaine thérapeutique	Hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Régis Peffault de Latour
Typologie réglementaire	RIPH 3
Promoteur de l'étude /Responsable des données	SOBI
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	06524726
Population cible	Patients atteints d'HPN
Critères principaux sélection	Patients atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (PNH) ayant commencé un traitement de routine par pegcetacoplan pour la PNH jusqu'à 6 mois avant l'inclusion ou s'est vu prescrire du pegcetacoplan à l'inclusion.
Date de début	04/06/2024
Date de fin	indéfinie

<b>ACRONYME</b>	<b>ALXN2040-PNH-303</b>
Titre	Étude de prolongation à long terme visant à caractériser l'innocuité et l'efficacité du danicopan en tant que traitement d'appoint à un inhibiteur du composant 5 (C5i) chez des patients atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) ayant déjà été traités au danicopan dans le cadre d'une étude clinique parrainée par Alexion.
Domaine thérapeutique	Hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)
Coordonnateur/responsable scientifique	Dr Flore Sicre De Fontbrune
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	ALEXION
Statut de l'étude	En Suivi
NCT	05389449
Population cible	Patients atteints de HPN
Critères principaux sélection	Patient ayant terminé sa participation à une étude clinique promue par Alexion avec le danicopan en complément d'un traitement anti C5.
Date de début	06/09/2022
Date de fin	2025
<b>ACRONYME</b>	<b>PKRPC001</b>
Titre	Étude prospective de phase III, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo et multicentrique visant à évaluer l'efficacité et la sécurité du mocravimod chez les patients atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) qui subissent une greffe de cellules souches hématopoïétiques allogènes (GCSH).
Domaine thérapeutique	LAM
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Marie ROBIN
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	PRIOTHERA
Statut de l'étude	En Suivi
NCT	05429632
Population cible	Patient atteint de LAM en CR1 ou CR2, devant bénéficier d'une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Subjects with a diagnosis of AML (excluding acute promyelocytic leukemia) according to the World Health Organization (WHO) 2022 classification of AML and related precursor neoplasms, including AML with myelodysplasia-related gene mutations.</li> <li>- Subjects with European LeukemiaNet (ELN) high-risk or intermediate-risk AML in CR1, or AML of any risk in CR2. (Complete remission with incomplete count recovery [CRi] is also allowable).</li> <li>- Subjects planned to undergo allogeneic HCT,</li> </ul>
Date de début	11/10/2022

Date de fin	indéfinie
ACRONYME	<b>DACORAL</b>
Titre	Étude prospective de phase II évaluant l'ASTX727 et les injections des lymphocytes du donneur (DLI) chez les patients atteints de syndrome myélodysplasique de très haut risque ou de leucémie aiguë myéloblastique
Domaine thérapeutique	SMD de très haut risque et LAM
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Marie ROBIN
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	Groupe Francophone de Myélodysplasies (GFM)
Statut de l'étude	En Suivi
NCT	04857645
Population cible	Patient atteint de SMD ou de LAM
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Patients âgés de 18 à 70 ans</li> <li>- SMD, LMMC ou LAM</li> <li>- Chimiothérapie préalable pour les patients atteints de LAM</li> <li>- Blastos médullaires avant greffe &lt; 20 % pour les SMD et &lt; 10 % post chimiothérapie pour les LAM</li> </ul>
Date de début	01/06/2021
Date de fin	2025
ACRONYME	<b>VIALE-T</b>
Titre	Étude de phase III, randomisée, en ouvert, évaluant la sécurité et l'efficacité du vénétoclax en association avec l'azacitidine après une allogreffe de cellules souches chez des patients atteints de leucémie aiguë myéloïde (LAM) (VIALE-T)
Domaine thérapeutique	LAM
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr Marie ROBIN
Typologie réglementaire	RIPH 1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	AbbVie Deutschland GmbH & Co.KG
Statut de l'étude	En Suivi
NCT	04161885
Population cible	Patient atteint de LAM
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Patients âgés ≥ 18 ans pour la partie 1 et d'au moins 12 ans pour la partie</li> <li>- Les patients doivent avoir reçu un diagnostic de LAM selon les critères de l'Organisation mondiale de la Santé (OMS ; 2017) et soit planifier une ACS, soit avoir reçu une ACS au cours des 60 derniers jours. Tous les types et toutes les catégories de LAM de l'OMS et un certain nombre de lignes de traitement antérieures peuvent être inclus.</li> </ul>
Date de début	13/06/2022
Date de fin	2026

ACRONYME	<b>EQ-100-02</b>
Titre	Étude de phase III, randomisée, multicentrique, réalisée en double aveugle, contrôlée contre placebo, évaluant l'itilizumab en association avec des corticostéroïdes dans le traitement initial de la maladie aiguë du greffon contre l'hôte
Domaine thérapeutique	Traitement GvH aigüe
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr David Michonneau
Typologie réglementaire	RIPH1
Promoteur de l'étude /Responsable des données	Equillium, Inc.
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	05263999
Population cible	Patient âgé de $\geq 12$ ans ayant reçu une allogreffe de cellules souches hématopoïétiques et avec un diagnostic de GvHa de grade III-IV ou de grade II avec atteinte du TDI
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Être âgé de <math>\geq 12</math> ans et peser <math>&gt; 40</math> kg</li> <li>- Présenter des signes de prise de greffe myéloïde</li> <li>- Diagnostic clinique d'aGVHD de grade III-IV ou de grade II avec atteinte du TDI basé sur les critères de classement du Mount Sinai Acute GVHD International Consortium (MAGIC) lors de la sélection et de la randomisation.</li> <li>- Corticothérapie initiale systémique par méthylprednisolone ou équivalent <math>\geq 1</math> mg/kg/jour pour l'aGVHD <math>\leq 72</math> heures avant le début de l'administration du médicament</li> </ul>
Date de début	21/09/2022
Date de fin	2028
ACRONYME	<b>INCA34176-357</b>
Titre	A Phase 3 Study of Axatilimab (INCA034176) and Corticosteroids as Initial Treatment for Chronic Graft-Versus-Host Disease
Domaine thérapeutique	Traitement GvH chronique
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr David Michonneau
Typologie réglementaire	REC
Promoteur de l'étude /Responsable des données	INCYTE
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	06585774
Population cible	Patient âgé d'au moins 12 ans n'ayant pas reçu de traitement systémique pour une cGVHD modérée ou sévère.
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Agé d'au moins 12 ans</li> <li>- GVHD modérée ou sévère nécessitant un traitement systémique.</li> </ul>

	<p>a. GVHD modérée : au moins 1 organe (sauf le poumon) avec un score de 2, <math>\geq</math> 3 organes organes concernés avec un score de 1 dans chaque organe, ou un score pulmonaire de 1.</p> <p>b. GVHD sévère : au moins 1 organe avec un score de 3, ou un score pulmonaire de 2 ou 3.</p>
Date de début	27/02/2025
Date de fin	2030
ACRONYME	<b>EFC17757 (Rocknrol-1)</b>
Titre	A randomized, double-blind, multicenter, Phase 3 study to evaluate efficacy and safety of belumosudil in combination with corticosteroids versus placebo in combination with corticosteroids in participants at least 12 years of age with newly diagnosed chronic graft versus host disease (cGVHD)
Domaine thérapeutique	Traitement GvH Chronique
Coordonnateur/responsable scientifique	Pr David Michonneau
Typologie réglementaire	REC
Promoteur de l'étude /Responsable des données	SANOFI
Statut de l'étude	En inclusion
NCT	06143891
Population cible	Patient d'au moins 12 ans avec une maladie chronique du greffon contre l'hôte nouvellement diagnostiquée.
Critères principaux sélection	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Patient âgé de 12 ans au moins et <math>\geq</math> 40kg</li> <li>- Patient ayant bénéficié d'une allogreffe avec un diagnostic récent de cGVHD modérée à sévère selon les critères de stadification du consensus du NIH.</li> <li>- Patient nécessitant un traitement systémique par corticostéroïdes pour la GVHD</li> <li>- Patient qui n'a pas reçu de traitement systémique antérieur pour la cGVHD (y compris PEC).</li> </ul>
Date de début	14/05/2024
Date de fin	2029