ORKiD FILIÈRE ORPHAN KIDNEY DISEASES

Essai Clinique Novartis

Journée Cystinose 14/11/25

filière de santé maladies rares

Actualités traitement – Essai Novartis - US

- https://clinicaltrials.gov/ - NCT06910813 -
- DFT383 in Pediatric Participants With Nephropathic Cystinosis (CYStem)
- Thérapie génique à base de cellules souches hématopoïétiques (CSH) autologues.
- Etude ouverte, multicentrique, de phase I/II, 2 bras parallèles, tirage au sort
- Objectif: évaluer la sécurité, la tolérance et l'efficacité du DFT383 chez des patients de de 2 à 5 ans atteints de cystinose
- Cohorte 0 : 15 participants - Traitement classique – suivi 24 mois
- Cohorte 1 : 15 participants - Traitement par DFT383 dans 3 cohortes (1A, 1B et 1C) selon une approche échelonnée – Durée totale maxi 32 mois
- Ouverture étude 06/25 – Date estimée de fin 08/30

Critères d'inclusion clés :

- Consentement éclairé écrit des parents ou tuteurs légaux doit être fourni.
- Être âgé de 2 à 5 ans (y compris 5 ans et 364 jours) à la sélection
- Poids ≥ au 3ème percentile et ≥ 10 kg
- Traitement oral à la cystéamine depuis au moins 6 mois
- Preuve biologique d'un syndrome de Fanconi rénal (RFS)
- Fonction rénale préservée (DFG ≥ 90 ml/min/1,73 m^2)
- Réception de tous les vaccins adaptés à l'âge

Critères d'exclusion clés

- Antécédents de transplantation rénale
- Une greffe de moelle osseuse ou de cellules souches antérieure ou prévue, ou un traitement antérieur par thérapie génique
- Antécédents de malignité
- Un trouble médical grave ou non contrôlé
- Une intervention chirurgicale majeure dans les 90 jours
- **Cohorte 1**: Indométhacine dans les 2 semaines précédant le screening

Critères de jugement principaux

- Tolérance et sécurité : incidence des événements indésirables
- Nombre de participants présentant une reconstitution hématologique (cohorte 1) [Durée : 42 jours après la perfusion de DFT]
- Proportion de participants présentant une régression du syndrome de Fanconi rénal (RFS)

Critères de jugement secondaires

- Qualité de vie liée à la santé - QUALIFY
- Syndrome de Fanconi: délai entre la perfusion et la régression du syndrome de Fanconi rénal (RF), durée et importance de réversion du RFS
- Nombre de participants sans cystéamine orale et gel ophtalmique
- Teneur en cristaux de cystine de la cornée par OCT [
- Nombre de participants présentant la présence/l'émergence d'un lentivirus compétent pour la réplication
- Nombre de patient ayant des effets secondaires