

1. Titre complet de la recherche biomédicale

Etude clinique prospective, ouverte, multicentrique, partiellement randomisée, visant à évaluer la sécurité d'un cycle du produit HepaStem chez des patients pédiatriques atteints d'un désordre du cycle de l'urée ou par le syndrome de Crigler-Najjar.

2. Titre abrégé et facilement compréhensible de la recherche

HEP 001 version 2.0 daté du 26 janvier 2012

3. Condition médicale ou pathologie étudiée

Le syndrome de Crigler-Najjar (CN)
Les désordres du cycle de l'urée (UCD)

4. Brève description facilement compréhensible de la recherche

L'objectif principal de cette étude de phase I/II est d'évaluer la sécurité d'un cycle d'infusions de cellules progénitrices hépatiques provenant de cellules d'un foie adulte (« HHALPC ») sur les 6 premiers mois, chez des patients pédiatriques UCD et CN en terme de statut clinique, d'hémodynamique de la veine porte, de morphologie du foie, de détection de novo d'anticorps anti-HLA et d'autres marqueurs immunitaires ainsi que la détection d'effets secondaires sérieux et d'effets secondaires significatifs sur le plan clinique et lié à l'infusion.

Cette étude à doses croissantes portera sur un total de 18 patients répartis en 3 cohortes de poids et 3 niveaux de doses (dose faible, dose intermédiaire et dose élevée).

Le traitement est décrit comme un cycle de plusieurs infusions étendu sur plusieurs jours. La route d'administration des cellules HHALPC est une voie intraveineuse via cathéter transhépatique percutané inséré dans la veine porte. Le suivi des patients s'étendra sur 12 mois à partir du jour de la première infusion de cellules HHALPC, 6 mois de surveillance active et 6 mois d'observation post-infusions.

HepaStem est une nouvelle stratégie thérapeutique visant à modifier le phénotype de ces maladies, d'une forme sévère en une forme plus modérée. Ceci dans le but d'améliorer la qualité de vie du patient, de faciliter la gestion de ces maladies et de réduire le risque de complications associées tels que les dommages neurologiques, les handicaps physiques et l'arriération mentale.

Les patients ciblés pour recevoir les infusions HepaStem, sont des patients métaboliquement mal contrôlés avec un traitement standard mais n'étant pas candidat pour la transplantation d'organe et pour qui un traitement alternatif est nécessaire.

5. Liste des pays dans lesquels il est prévu d'inclure des personnes dans la recherche

- Belgium
- France
- United Kingdom

6. Origine du financement de la recherche

Nom de l'organisme	Promethera Biosciences
Pays	Belgique

7. Coordonnées du contact en France désigné par le promoteur pour toute question sur la recherche

Nom du promoteur	Promethera Biosciences
Nom du contact	Vinciane Wouters
Adresse électronique du contact	Vinciane.wouters@promethera.com
Autres informations sur le contact (N° de téléphone...)	32 (0)10 39 43 11