

<p><i>Nom et titre de l'étude</i></p>	<p>MIROIR Etude observationnelle du pomalidomide dans la « vraie vie »</p>
<p><i>Objectifs et évaluations</i></p>	<p>L'objectif de l'étude est d'évaluer l'utilisation et l'efficacité du pomalidomide dans la pratique clinique courante, chez les patients pour lesquels il peut être prescrit, en dehors des essais cliniques. Cette étude est conçue pour répondre, selon un modèle économique innovant, à une demande des Autorité de Santé qui prendront en charge uniquement les traitements qui se sont révélés efficaces sur le critère principal d'évaluation : la durée de survie sans progression de la maladie à 6 mois.</p> <p>Les objectifs secondaires visés sont le taux de réponse globale (% de patients obtenant une réponse complète ou partielle au traitement), la durée de la réponse, le délai jusqu'à l'arrêt du traitement ou le changement de traitement, la tolérance du traitement, notamment à long terme, la durée de survie globale, les doses de pomalidomide utilisées, les effets sur la qualité de vie et les traitements dits de « support » prescrits (antibiotiques, prévention des thromboses...).</p>
<p><i>Pour qui ; dates de début et de fin des inclusions</i></p>	<p>Pour des patients atteints de myélome en rechute, traités par le pomalidomide Etude prévue de fin 2015 à fin 2017.</p>
<p><i>Présentation ; Médicament testé</i></p>	<p>Le pomalidomide est le 3^{ème} médicament de la famille des IMiDs, dit « immuno-modulateurs », utilisés dans le traitement du myélome, après le thalidomide et le lénalidomide (Revlimid®). Le pomalidomide, utilisé en association à la dexaméthasone, est mieux toléré au plan neurologique, moins de neuropathies, que le thalidomide. Il se présente sous forme de gélules (4 mg/jour) et son administration s'effectue par cycles de 4 semaines (3 semaines de traitement puis une semaine d'arrêt).</p>

<p><i>Nom et titre de l'étude</i></p>	<p>MIROIR Etude observationnelle du pomalidomide dans la « vraie vie »</p>
<p><i>Principaux effets indésirables</i></p>	<p>Le profil de toxicité est semblable à celui du lénalidomide (Revlimid®). Les effets indésirables rapportés sont une anémie (baisse des globules rouges dans le sang), une neutropénie (baisse des globules blancs) induisant un risque d'infections, et une thrombopénie (baisse des plaquettes) pouvant provoquer des saignements, des neuropathies, des thromboses veineuses profondes. Le risque de thromboses peut être prévenu par un traitement anti-thrombotique, comme l'aspirine ou une héparine de bas poids moléculaire (HBPM). Comme les autres IMiDs (thalidomide et lénalidomide/Revlimid®) dont il est proche structurellement, le pomalidomide est potentiellement tératogène, et pourrait provoquer des anomalies congénitales graves chez l'enfant à naître s'il est pris pendant la grossesse.</p>
<p><i>Profils des patients</i></p>	<p>1000 malades attendus/an, soit 3000 malades sur 3 ans. Les patients éligibles sont des patients de 18 ans et plus, ayant un myélome en rechute :</p> <ul style="list-style-type: none"> • traités par le pomalidomide entre le 1^{er} octobre 2014 et le 30 septembre 2017, préalablement inclus dans le registre Imnovid® • acceptant que les données les concernant soient rentrées anonymement dans le registre de suivi, • remplissant les conditions du Programme de Prévention de la Grossesse (PPG) : <p>Les femmes en âge de procréer doivent s'engager à utiliser une méthode de contraception efficace durant l'étude, 4 semaines avant l'inclusion, puis 4 semaines après ; un test de grossesse est pratiqué toutes les 4 semaines. Les hommes doivent utiliser une méthode contraceptive adéquate pour tout rapport avec une femme en âge de procréer et ne doivent pas faire de dons de sperme, ou de sang pour les 2 sexes, pendant l'étude et 7 jours après le traitement.</p> <p>Ne sont pas éligibles les patients :</p> <ul style="list-style-type: none"> - ayant déjà participé à un essai avec le pomalidomide - ayant reçu le pomalidomide antérieurement - participant à une autre étude clinique - femmes enceintes ou allaitantes

<i>Nom et titre de l'étude</i>	<p>MIROIR Etude observationnelle du pomalidomide dans la « vraie vie »</p>
<i>Protocole de traitement et rythme des contrôles</i>	<p>Le traitement par pomalidomide est donné par cycles de 28 jours, les patients reçoivent :</p> <ul style="list-style-type: none"> • le pomalidomide (Imnovid®) 4 mg en gélule à heure fixe une fois par jour, du 1^{er} au 21^{ème} jour de chaque cycle • et la dexaméthasone (40 mg par semaine)
<i>État d'avancement</i>	<p>Début des inclusions prévu fin 2015.</p>
<i>Résultats partiels déjà connus</i>	<p>Les études réalisées avec le pomalidomide, notamment l'étude NIMBUS de phase 3, ont montré que ce médicament était efficace pour retarder la progression du myélome chez les patients en échec des traitements antérieurs. Le pomalidomide (Imnovid®), en association à la dexaméthasone, a été approuvé par les Autorités de Santé européennes et françaises en 2013 et il est commercialisé aux Etats-Unis depuis 2013. Pour la commercialisation en France, les négociations de prix entre les Autorités de Santé et le laboratoire ont abouti au projet d'étude MIROIR. Elle permettra de répondre à l'objectif économique en ne remboursant le médicament prescrit à un patient que s'il a été efficace dans ce cas. Les échecs seront à la charge du laboratoire.</p>