

PROJET DESIGUAV

MÉTHODOLOGIE (DESIGNS) DES ÉTUDES THÉRAPEUTIQUES DANS LES ANOMALIES VASCULAIRES RARES À EXPRESSION CUTANÉE : REVUE SYSTÉMATIQUE ET ENQUÊTE AUPRÈS D'EXPERTS SELON LA MÉTHODE DELPHI

Aude Allemang-Trivalle,
Annabel Maruani et Bruno Giraudeau

Centre de Référence MAGEC - Site constitutif de Tours
Université de Tours, INSERM 1246-SPHERE



1^{ère} journée scientifique FIMARAD

25 novembre 2021

CONTEXTE

- Anomalies vasculaires (AVs) rares = large panel de maladies
 - *Classées par l'International Society for the Study of Vascular Anomalies (ISSVA)*
 - *Tumeurs vasculaires ou malformations vasculaires*
- Standard évaluation thérapeutique = essai contrôlé randomisé
- Double difficulté de la conception d'essai clinique dans les Avs rares :

1. *Rareté des maladies*
2. *Population pédiatrique*

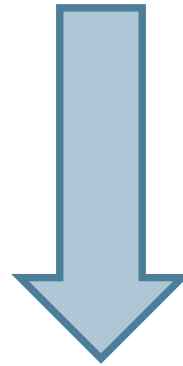


**Problèmes méthodologiques
& éthiques**

OBJECTIF

Schémas méthodologiques alternatifs ont été développés
mais peu utilisés dans la pratique.

*Exemple : « stepped-wedge individual randomized trial » (SWT)
aussi appelé « randomized placebo phase design » (RPPD).*



Déterminer les schémas méthodologiques optimaux pour conduire un essai
clinique sur les Avs rares.

METHODES

1. Revue systématique de la littérature

- *Recherche documentaire sur des bases bibliographiques et des registres.*
- *Identifier toutes les études thérapeutiques portant sur les AVs rares.*

2. Travail méthodologique selon la méthode de consensus Delphi international avec l'ERN Skin

- *Identifier les conditions de réalisation des designs originaux adaptés aux maladies rares recensés lors de la revue systématique, dont le SWT.*

RESULTATS ATTENDUS ET RETOMBEEES

1. Revue de littérature : émergence de designs originaux et alternatifs comme le SWT.
2. Description des conditions méthodologiques pour leur mise en place.



- Optimiser la conception d'essais thérapeutiques dans des pathologies rares et hétérogènes.
- Apporter des niveaux de preuve plus robustes pour la prise en charge de ces patients.

Merci pour votre attention !