

Essai canadien sur la greffe de moelle osseuse : faits en bref

Point d'information révisé en juin 2016

En quoi consistait cet essai?

- En 2000, la Société canadienne de la sclérose en plaques et la Fondation pour la recherche scientifique sur la SP (FRSSP) subventionnaient un essai clinique multicentrique intitulé « Targeting Multiple Sclerosis as an Autoimmune Disease with Intensive Immunoablative Therapy and Immunological Reconstitution » (traitement immunoablatif et reconstitution immunitaire : cibles thérapeutiques potentielles pour la sclérose en plaques, maladie auto-immune). Le financement de cet essai totalisait 6 475 344 \$.
- L'essai en question visait à mesurer l'efficacité d'un traitement consistant en une immunosuppression suivie d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques autologues pour stopper la SP.
- Cet essai, rebaptisé « **Canadian Bone Marrow Transplantation Trial** » (essai canadien sur la greffe de moelle osseuse – BMT), était dirigé par les Drs Mark Freedman et Harry Atkins, de l'Institut de recherche de l'Hôpital d'Ottawa.
- Le recrutement de participants pour cet essai a commencé en octobre 2000, et la première greffe a été réalisée en octobre 2001. En tout, 24 personnes ont reçu un traitement de chimiothérapie puissant visant à détruire les cellules de leur système immunitaire avant de subir une greffe de cellules souches. L'objectif de cette procédure thérapeutique consistait à remplacer le système immunitaire défaillant des patients et à doter ces derniers d'un système immunitaire sain.
- En raison des effets secondaires graves associés à la chimiothérapie, seuls des sujets présentant une forme de SP cyclique (poussées-rémissions) à forte activité inflammatoire et caractérisée par une évolution rapide ont été retenus pour subir ce traitement dans le cadre de l'essai.
- Les cellules administrées aux patients étaient des cellules souches autologues, c'est-à-dire des cellules provenant de leur propre moelle osseuse plutôt que celles d'un donneur. Cette procédure élimine le risque de rejet.
- Après avoir subi le traitement, les participants à l'essai BMT ont fait l'objet d'un suivi durant une période pouvant aller jusqu'à 13 ans, au cours de laquelle ont été évalués leur degré d'incapacité, le nombre et la taille des lésions inflammatoires présentes dans leur cerveau ainsi

que les modifications de leur volume cérébral, au fil du temps. Ce suivi portait également sur un certain nombre d'indicateurs de bien-être social.

- Des chercheurs ont mené [d'autres investigations](#) en vue de mieux comprendre les réactions au traitement constatées parmi les participants à l'essai BMT. Ces investigations comprenaient des examens cliniques, immunologiques et d'IRM exhaustifs.
- Les résultats de l'essai canadien sur la greffe de moelle osseuse ont été publiés le 9 juin 2016 dans la revue [The Lancet](#).

Quels résultats les chercheurs ont-ils obtenus?

- Les résultats de l'essai BMT qui ont été publiés démontrent que le traitement combinant une immunosuppression et une greffe de cellules souches hématopoïétiques autologues constitue une option très efficace pour prévenir de nouveaux épisodes inflammatoires. Plus précisément, les chercheurs n'ont observé aucune poussée ni aucune nouvelle lésion cérébrale chez 23 participants durant toute la période de suivi.
- Selon les observations des chercheurs, 70 % des participants à l'essai n'ont montré aucun signe de progression de l'incapacité à long terme, 40 % ont bénéficié d'un rétablissement fonctionnel inattendu, comme un accroissement de la force musculaire et une amélioration de la coordination des mouvements. De plus, certains participants ont présenté une amélioration marquée relativement à divers indicateurs de bien-être social.
- L'un des participants à l'essai BMT est décédé des suites de complications associées à une insuffisance hépatique, environ deux mois après avoir subi le traitement à l'étude.

Qu'est-ce que cet essai signifie?

- Le fait que les résultats de cet essai clinique aient été publiés dans une revue scientifique dont le contenu est révisé par des pairs signifie que ces données ont été examinées minutieusement par des spécialistes et qu'elles sont de nature à permettre aux professionnels de la santé et aux décideurs de premier plan d'évaluer l'efficacité et l'innocuité du traitement en question ainsi que la pertinence de mettre ce dernier à la disposition des personnes atteintes de SP.
- Bien que les résultats de ces investigations s'avèrent encourageants, le traitement concerné demeure une procédure complexe qui repose notamment sur une chimiothérapie intensive, potentiellement toxique. Par conséquent, cette option thérapeutique est réservée aux personnes qui présentent une forme cyclique de SP réfractaire, à forte activité inflammatoire et marquée par une évolution particulièrement rapide.
- Il n'est pas encore clairement établi que ce traitement peut être bénéfique aux personnes qui présentent depuis longtemps un taux élevé d'incapacité liée à la SP ou chez qui on constate un faible degré d'inflammation dans le cerveau et la moelle épinière.
- Ce traitement consistant en une immunosuppression suivie d'une greffe de cellules souches hématopoïétiques autologues a fait l'objet d'autres essais, actuellement en cours ou achevés, dans divers pays. Ces travaux de recherche prévoient des protocoles, des critères d'admissibilité

et des formules chimiothérapeutiques variés. Ces investigations, de même que l'essai canadien sur la greffe de moelle osseuse, permettent à la collectivité de la SP d'accroître considérablement sa compréhension des risques et des bienfaits de cette option thérapeutique pour les personnes atteintes de SP. Elles ouvrent également la voie à d'autres travaux de recherche sur les traitements par cellules souches contre n'importe quelle forme de SP. L'essai BMT, en particulier, donne un aperçu tout à fait unique des effets à long terme d'un tel traitement.

- Actuellement, de nouveaux patients pourraient recevoir le traitement immunoablatif suivi d'une reconstitution immunitaire à l'Hôpital d'Ottawa. Ceux-ci doivent avoir été adressés par un médecin et répondre aux critères d'admissibilité établis pour le traitement. Parlez-en avec votre neurologue si vous envisagez de recourir à cette option thérapeutique. Pour en apprendre davantage sur ce traitement, les méthodes thérapeutiques utilisées, les modalités de paiement et de remboursement, les critères d'admissibilité, le suivi médical, etc., veuillez communiquer directement avec l'Hôpital d'Ottawa. Vous pouvez également consulter le [site Web](#) de cet établissement pour obtenir de l'information.
- Bénéficiant d'une subvention de la FRSSP, le Dr Mark Freedman a lancé récemment un [essai clinique sur le traitement par les cellules souches mésenchymateuses](#), conjointement avec le Dr James Marriott, de l'Université du Manitoba.

Information à l'appui

- [Nouvelles récentes sur la recherche en SP : Une étude phare financée par la Fondation pour la recherche scientifique sur la SP montre que la « reconstitution » du système immunitaire stoppe l'activité de la maladie et favorise une rémission chez les personnes présentant une forme de sclérose en plaques à évolution rapide](#)
- [Nouvelles récentes sur la recherche en SP : Une étude financée par la Fondation pour la recherche scientifique sur la sclérose en plaques permet d'effectuer une avancée importante dans la compréhension d'un traitement risqué, mais efficace de la SP](#)
- [Communiqué de presse](#)