

Résumé du protocole destiné au grand public

Etude clinique ayant pour but d'étudier les effets d'ABL001 chez des enfants atteints de leucémie myéloïde chronique (LMC)

Titre complet du protocole :

Etude de phase II, multicentrique, ouverte, à un seul bras, évaluant l'innocuité et l'efficacité de l'asciminib chez des enfants atteints de leucémie myéloïde chronique Philadelphia positive en phase chronique (LMC-PC Ph+), nouvellement diagnostiqués ou précédemment traités, avec ou sans mutation T315I connue.

Phase de développement : II

Informations sur l'étude

Code de l'étude : CABL001I12202

Nom du traitement évalué : ABL001 (aussi appelé asciminib)

Promoteur : Novartis

N°UE de l'essai : 2025-522138-29

Ce résumé destiné au grand public a été préparé pour les personnes de la société civile siégeant au Comité de Protection des Personnes.

Date d'émission du protocole : 20 octobre 2025

Date du résumé destiné aux personnes profanes :
19 février 2026

Version : 1

Pourquoi cette étude est-elle mise en place ?

L'objectif de cette étude est d'étudier les effets d'**ABL001**, aussi connu sous le nom d'**asciminib**, chez des enfants atteints de **leucémie myéloïde chronique (LMC)** récemment diagnostiquée ou précédemment traitée par des **inhibiteurs de tyrosine kinase (ITK)**, avec ou sans mutation **T315I** connue.



La **leucémie myéloïde chronique (LMC)** est un type de cancer du sang qui se développe dans la moelle osseuse. La moelle osseuse est l'endroit où sont fabriquées les nouvelles cellules sanguines, notamment les globules rouges, les globules blancs et les plaquettes. Chez les personnes atteintes de **LMC**, l'organisme produit un trop grand nombre de globules blancs anormaux. Les symptômes courants de la **LMC** comprennent fièvre, sueurs nocturnes, fatigue ou faiblesse et perte de poids.

Les personnes atteintes de **LMC à chromosome Philadelphie positif (Ph+)** ont une anomalie génétique (mutation dite de « translocation ») qui entraîne la fusion de deux protéines différentes, **BCR** et **ABL**, en une protéine anormale appelée **BCR::ABL**. Cette protéine provoque la multiplication incontrôlée des cellules sanguines, entraînant le développement et l'aggravation de la maladie.

Le stade précoce de la **LMC** est appelé la phase chronique. Les symptômes peuvent être légers ou passer inaperçus, mais le cancer peut s'aggraver avec le temps s'il n'est pas traité.

Le traitement principal de la **LMC** repose sur un groupe de médicaments appelés « inhibiteurs de tyrosine kinase » (**ITK**). Cependant, les **ITK** ne sont pas efficaces chez tous les participants, en particulier chez les personnes ayant une mutation spécifique dans le gène **BCR::ABL**, appelée mutation **T315I**. C'est pourquoi il est nécessaire de développer de nouveaux traitements.



ABL001 est un type d'**ITK** conçu pour agir différemment des autres **ITK** existants. Des études cliniques ont montré qu'**ABL001** pouvait aider à réduire le nombre de cellules anormales dans le sang. Il est déjà approuvé chez les adultes pour traiter la **LMC**.

Traitement à l'étude
ABL001, aussi appelé
asciminib
Prononciation
A-si-mi-nib

A quelles questions cette étude va-t-elle répondre ?

Cette étude a été conçue pour répondre en priorité aux questions suivantes :

- Combien de participants verront leur taux de protéine **BCR::ABL** diminuer à au moins 0,1 % après 48 semaines de traitement ?
- Quels problèmes médicaux, aussi appelés « effets indésirables », seront rapportés durant l'étude ?

 Un **effet indésirable** est un signe ou un symptôme que les patients peuvent présenter au cours d'une étude clinique. Un effet indésirable est considéré comme **grave** lorsqu'il

conduit au décès du participant ou est susceptible de mettre sa vie en danger, d'entraîner une invalidité ou une incapacité importante ou durable, ou lorsqu'il nécessite une hospitalisation. Les effets indésirables **peuvent être liés ou non** au traitement à l'étude.

Cette étude a également été conçue pour répondre aux questions suivantes :

- Combien de participants verront leur taux de protéine **BCR::ABL** diminuer à au moins 0,1 % après 96 semaines de traitement et à d'autres moments de l'étude ?
- Combien de participants montreront une amélioration de leur numération sanguine, des taux de protéine **BCR::ABL** et des résultats d'autres tests à différents moments pendant l'étude ?
- Combien de temps faudra-t-il pour que les participants répondent au traitement pendant l'étude ?
- Combien de temps durera la réponse des participants après avoir reçu le traitement pendant l'étude ?
- Pendant combien de temps les participants continueront-ils à recevoir le traitement avant que ce dernier n'agisse plus ?
- Après combien de temps le cancer des participants s'aggraverait-il après le traitement ?
- Après combien de temps le cancer du participant s'aggraverait-il ou le patient décède après le traitement ?
- Combien de temps vivront les participants qui ont reçu le traitement après avoir été inclus dans l'étude ?
- Quels sont les effets d'**ABL001** sur la croissance des patients en termes de taille, de poids, de développement osseux et de maturité sexuelle ?
- Quel sera le taux d'**ABL001** dans le sang des participants pendant l'étude ?

Qui peut participer à cette étude ?



Il est prévu qu'environ 50 personnes âgées de 1 an à 18 ans participent à cette étude. Les participants peuvent être des garçons ou des filles de toute origine ethnique.

Ces personnes peuvent participer à cette étude si :

- Elles ont un diagnostic confirmé de **LMC Ph+** ;
- La protéine **BCR::ABL** est présente à la surface de leurs cellules cancéreuses.

Les personnes ne peuvent pas participer à cette étude si :

- Elles présentent de graves problèmes cardiaques tels que des changements importants du rythme cardiaque ;
- Elles ont bénéficié ou vont recevoir une greffe de cellules souches.

Que se passera-t-il pendant cette étude ?

Avant de participer à l'étude

22 jours



Les médecins de l'étude vérifieront que l'état de santé des patients leur permet de participer à cette étude clinique.

Pendant le traitement

Aussi longtemps que le participant en retirera un bénéfice

Cette étude inclura 3 groupes de participants atteints de **LMC (Ph+)** :

- **Groupe 1** : participants atteints de **LMC (Ph+)** récemment diagnostiquée, sans mutation **T315I** connue ;
- **Groupe 2** : participants atteints de **LMC (Ph+)** sans mutation **T315I** connue qui n'ont pas répondu ou présentaient une intolérance aux **ITK** disponibles ;
- **Groupe 3** : participants atteints de **LMC (Ph+)** avec mutation **T315I**.



Tous les participants auront des comprimés ou des gélules contenant des mini-comprimés d'**ABL001** à prendre par voie orale. Les participants prendront **ABL001** tant que la maladie ne progresse pas, qu'ils ne présentent pas d'effets indésirables inacceptables, que le traitement est efficace ou que les participants ou le médecin de l'étude ne décident pas d'arrêter le traitement.

Dans cette étude, tous les participants, les médecins de l'étude et le personnel de l'étude sauront quel traitement les participants recevront. Les médecins surveilleront l'évolution de la **LMC** et l'état de santé des participants tout au long de l'étude.

Après le traitement

Jusqu'à la fin de l'étude



Les participants qui terminent la période de traitement comme prévu seront contactés par téléphone 30 jours après avoir reçu la dernière dose d'**ABL001** pour le suivi de leur état de santé. Les participants qui ont arrêté le traitement pour quelque raison que ce soit avant la fin de la période de traitement prévue seront contactés par téléphone pour le suivi de leur état de santé jusqu'à la fin de l'étude.

Quels sont les bénéfices et les risques à participer à cette étude ?

Les résultats des études précédentes indiquent qu'**ABL001** pourrait être bénéfique pour les personnes atteintes de **LMC**. Cette étude pourrait aider à développer de nouveaux traitements pour les personnes atteintes de **LMC**.

Le traitement par **ABL001** pourrait entraîner des problèmes médicaux qui ne sont pas encore connus ou qui n'étaient pas attendus. L'état de santé des participants sera étroitement surveillé par les médecins de l'étude afin de détecter l'apparition de ces éventuels problèmes médicaux.

Engagement en matière de transparence

Une fois que cette étude clinique sera terminée et que le rapport final sera publié, les résultats seront communiqués aux personnes ayant participé à l'étude ainsi qu'au grand public dans un langage clair et facile à comprendre.

Pour des raisons de confidentialité, certaines informations ne pourront pas être communiquées ou détaillées dans ce document.



Novartis est une société pharmaceutique internationale
dont le siège est basé en Suisse et qui apporte des
solutions répondant aux besoins des patients
dans le monde.

+41 61 324 1111 (Europe)

www.novartis.com/clinicaltrials