



Rayonnement et attractivité académiques et industriels

Conception et Pilotage des essais cliniques pour le développement des solutions thérapeutiques

TRANSLAD-Treat coordonne 2 essais thérapeutiques internationaux dans les anomalies du développement avec hypertrophie segmentaire :

- **Sirolimus et hypertrophie segmentaire liée à PIK3CA (Promoteur CHU Dijon Bourgogne).**

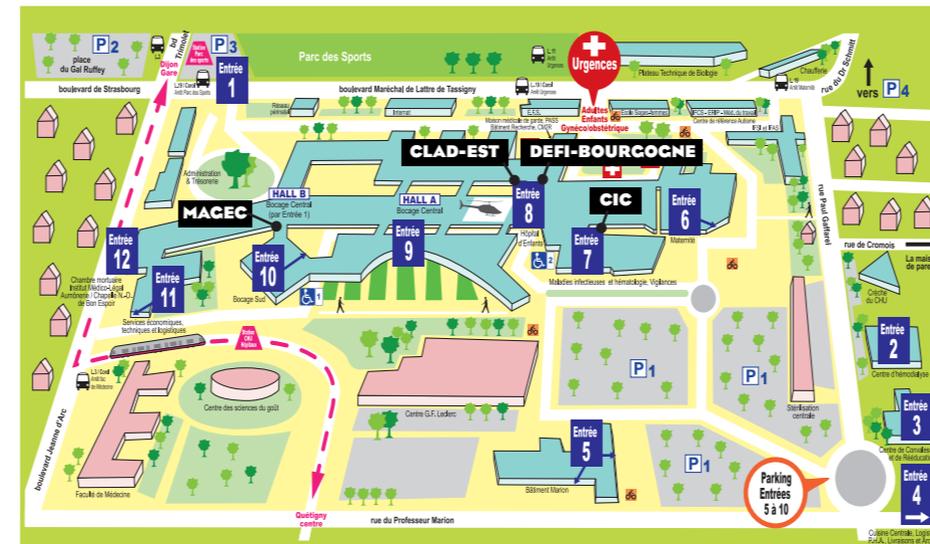
Cet essai de phase II non randomisé prouve de concept visant à étudier l'efficacité du sirolimus dans les hypercroissances segmentaires liées à PIK3CA a été mené selon le même protocole dans 3 centres (Dijon, Cambridge, Bethesda).

- **Taselisib et hypertrophie segmentaire liée à PIK3CA (Promoteur CHU Dijon Bourgogne)**

Cet essai de phase Ib/IIa consiste à évaluer la

tolérance et l'efficacité du taselisib, molécule inhibitrice directe de PIK3CA chez 30 patients présentant une hypertrophie segmentaire en mosaïque, en France et au Royaume-Uni.

- **TRANSLAD-Treat a participé ou participe également aux différents essais thérapeutiques menés en France** sur les maladies du développement, à promotion académique ou industrielle : FRAGXIS (Promoteur ROCHE), RAVAST (Promoteur CHU Toulouse), MARFAN-SARTAN (Promoteur APHP), PERFORMUS (Promoteur CHU Tours), HEMANGIOL (Promoteur P Fabre), MAV RAPA - SIROLIMUS (Promoteur CHU Amiens), Dowling Meara (Promoteur CHU Nice), CONAPE (CHU Tours), MO25616 (Promoteur ROCHE), MO28295 MIKIE (Promoteur ROCHE).



Entrée 1 Hall B - Bodge Central Centre de Prélèvements Administration / Trésorerie	Entrée 4 Cuisine Centrale Logistique, P.H.A Livraisons, Archives	Entrée 7 Maladies infectieuses et hématologie Pôle des vigilances	Entrée 10 Bodge Sud	Entrée 11 Services économiques, techniques et logistiques	Urgences Adultes Enfants Gynéco-Obstétriques	P Parkings Bus - Liane 3 et lignes 11,19 / Corol
Entrée 2 Centre d'hémodialyse	Entrée 5 Bâtiment Marion	Entrée 8 Hôpital d'Enfants	Entrée 9 Hall A - Bodge Central Centre de Prélèvements	Entrée 12 Chambre mortuaire Institut Médico-Légal / Aumônerie Chapelle N-D. de Bon Espoir	PASS (Permanence d'Accès aux Soins de Santé) Maison Médicale de garde Etablissement Français du Sang Écoles & Instituts Médecine du Travail Centre de référence Autisme Centre Mémoire Ressources & Recherche Bâtiment Recherche	Tramway : Ligne T1 : Station CHU Hôpitaux Pour les urgences : Station Parc des Sports
Entrée 3 Centre de Convalescence et de Rééducation	Entrée 6 Maternité					Parcs à vélos Accès par rampe Accès par ascenseur



Contact

Meriem YOUSFI

Coordonnatrice d'études cliniques

Tél : 03 80 29 51 24 - Fax : 03 80 29 32 66

E-mail : meriem.yousfi@chu-dijon.fr

CHU Dijon Bourgogne

3^e étage, 14 rue Gaffarel

BP 77908-21079 Dijon cedex



Un centre d'essais thérapeutiques en Bourgogne
pour les patients atteints
d'anomalies du développement



CHU Dijon Bourgogne

Expertise, pluridisciplinarité, diagnostic et recherche

Un centre expert européen dans la génomique des anomalies du développement





Les anomalies du développement

Les anomalies du développement sont définies par des variations anatomiques ou fonctionnelles produites à un des stades du développement embryonnaire. Elles touchent 3% des naissances. À ce jour, plus de **3 000 maladies du développement** d'origine génétique sont répertoriées et plusieurs dizaines sont décrites chaque année. Elles représentent un problème de santé



publique majeur de par les complications chroniques et sévères, le handicap et parfois le risque vital qu'elles peuvent entraîner, et **l'absence de solutions thérapeutiques**. De nombreux progrès ont vu le jour ces dernières années dans la compréhension de ces affections avec l'arrivée des technologies de séquençage haut débit, laissant parfois entrevoir des cibles thérapeutiques. **La mise en place d'équipes spécialisées pouvant mener des essais cliniques dans ce groupe de pathologies est indispensable.**

TRANSLAD-Treat est un centre d'essais thérapeutiques conçu pour les patients atteints d'anomalies du développement associées ou non à une déficience intellectuelle. Le centre est notamment spécialisé dans la mise en place d'essais thérapeutiques dans les maladies du développement avec hypertrémie segmentaire en mosaïque.

La naissance des nouvelles approches thérapeutiques

Dans le domaine des maladies rares, identifier la cause de la pathologie d'un patient va représenter une étape cruciale, qui s'est grandement améliorée avec l'arrivée des technologies de séquençage haut débit. Aboutir à un diagnostic va parfois nécessiter des étapes de recherche plus ou moins poussées. L'identification d'un défaut génétique peut mener à une piste thérapeutique. Les avancées des travaux de la recherche préclinique dans les laboratoires de recherche privés ou publics contribuent à sélectionner des molécules potentielles nouvelles ou déjà existantes. Cela donne lieu à des essais cliniques qui permettent aux patients de bénéficier du progrès scientifique et médical. Ce processus est très long et très coûteux.



Les 3 centres de référence



CENTRE DE RÉFÉRENCE ANOMALIES DU DÉVELOPPEMENT ET SYNDROMES MALFORMATIFS

Coordonné par le Professeur Laurence Olivier-Faivre

Le CLAD-Est est un centre multisite d'évaluation et de coordination de la prise en charge des patients atteints d'anomalies du développement et de syndromes malformatifs. Il coordonne également la filière de santé nationale AnDDI-Rares, dédiée aux maladies rares du développement.



CENTRE DE RÉFÉRENCE DÉFICIENCE INTELLECTUELLE DE CAUSES RARES

Coordonné par le Professeur Christel Thauvin,

Le centre Défi-Bourgogne est constitutif du centre de référence multisite « Déficience intellectuelle de causes rares ». Composé d'une équipe multidisciplinaire, le centre répond aux besoins de diagnostic et d'orientation de prise en charge des patients atteints de déficience intellectuelle.



CENTRE DE RÉFÉRENCE MALADIES DERMATOLOGIQUES EN MOSAÏQUE

Coordonné par le Professeur Pierre Vabres,

Le centre MAGEC est constitutif du centre de référence multisite « Maladies rares de la peau et des muqueuses d'origine génétique ». Ce centre prend en charge les maladies rares de la peau d'origine génétique et en particulier les maladies dermatologiques en mosaïque.

En parallèle de leur activité de soin, ces 3 centres de référence mènent une activité d'enseignement et de recherche de haut niveau, avec un engagement particulier dans le développement d'essais thérapeutiques. Ces centres sont à l'origine de la Fédération Hospitalo-Universitaire FHU-TRANSLAD.



Composé d'un module épidémiologie clinique (Professeur Christine Binquet) et d'un module plurithématique (Professeur Marc Bardou)

Le CIC a pour expertise la conception et la conduite des essais cliniques. Le développement de ces projets est assuré par une équipe médicale et scientifique multidisciplinaire, offrant toute la logistique nécessaire au développement d'essais thérapeutiques, y compris de phases précoces (première administration chez l'homme par exemple).