



L'Hôpital de Montréal pour enfants
The Montreal Children's Hospital
Centre universitaire de santé McGill
McGill University Health Centre

Centre universitaire
de santé McGill



McGill University
Health Centre

Robert K. Koenekoop MD PhD FARVO
Directeur Laboratoire de génétique oculaire de McGill
Centre de médecine innovante (CIM)
Chef de la division d'ophtalmologie pédiatrique du
Centre Universitaire de Santé McGill, Montreal, (Québec), Canada

Re: Étude expérimentale sur le traitement de la choroideremia

Chers médecins,

Nous sommes très heureux d'annoncer que notre site du Centre pour la médecine innovante (CIM) du CUSM, à McGill, participe à l'étude NIGHTSTAR NSR-REP-01 «STAR». Il s'agit d'un essai clinique portant sur des patients de sexe masculin présentant un diagnostic de choroideremia (CHM).

Comme vous le savez, la choroideremia est actuellement une dégénérescence rétinienne intraitable qui se transforme en cécité légale dès l'âge moyen. Dans cette étude, nous documenterons l'histoire naturelle des patients CHM en effectuant diverses mesures de la fonction visuelle et de la structure rétinienne. Certains patients, avec des critères d'entrée stricts, peuvent être en mesure de subir un traitement expérimental dans un œil, qui consiste en une chirurgie expérimentale introduisant une copie saine du gène CHM (REP-1) sous la rétine.

Les patients peuvent être éligibles pour cette étude s'ils remplissent les critères d'inclusion suivants:

- Avoir un diagnostic de CHM confirmé génétiquement
- Avoir une maladie active CHM cliniquement visible dans la région maculaire dans l'œil de l'étude
- Avoir une acuité visuelle de 34 à 73 lettres ETDRS dans l'œil de l'étude (c'est-à-dire 6 / 12-6 / 60 ou 20 / 40-20 / 200 acuité de Snellen).
- Les patients en dehors de ces acuités ne sont pas admissibles pour le moment.

Les critères d'exclusion suivants peuvent exclure les sujets de la qualification:

- Vous avez des antécédents d'amblyopie (œil paresseux) dans l'œil étudié.
- Ne sont pas disposés à utiliser une contraception barrière pendant les 3 mois suivant le traitement.
- Avoir déjà subi une chirurgie intraoculaire dans les 3 mois suivant la première visite.
- Vous présentez toute autre maladie / trouble oculaire ou non oculaire significatif qui, de l'avis de l'enquêteur, peut mettre les sujets en danger ou influencer sur les résultats de l'étude ou sur leur capacité à participer.
- Egalement un candidat chirurgical médiocre pour l'étude (jugé par l'équipe chirurgicale)
- Contre-indication à un corticostéroïde oral (par exemple, prednisolone / prednisone).
- Cataracte cliniquement significative (nécessiterait une intervention chirurgicale de la cataracte puis 3 mois avant l'inscription).
- Avoir reçu une autre thérapie basée sur les gènes / cellules à tout moment
- Avoir participé à une autre étude portant sur un produit expérimental au cours des 12 dernières semaines

Si vous avez des questions, n'hésitez pas à demander.

Nous apprécierions beaucoup que vous envisagiez de référer vos patients atteints de choroideremia dans les prochains mois qui correspondent au profil de patient ci-dessus et qui souhaiteraient participer à l'étude clinique et éventuellement subir une chirurgie avec le test expérimental AAV2-REP1.

Merci beaucoup pour votre aide et votre temps.

Meilleurs vœux,

A handwritten signature in blue ink, appearing to read "Robert Koeneke". The signature is fluid and cursive, with a large loop at the beginning.

Nom de l'investigateur : Robert Koeneke MD PhD

Numéro de téléphone : 514-412-4400 ext. 23577