

UN ANTICANCÉREUX POUR TRAITER LES MALFORMATIONS VASCULAIRES

Publié le 22 février 2024



par Daily Science

Considérées comme des maladies rares, les malformations vasculaires et lymphatiques nécessitent des prises en charge très spécifiques. Il s'agit d'anomalies congénitales du développement des veines et des vaisseaux lymphatiques (dites à bas débits), dont les symptômes apparaissent généralement vers la puberté. Elles peuvent être à l'origine notamment de déformations, de douleurs importantes, d'impotences fonctionnelles, de faiblesses musculaires, de saignements.

Le [Centre de référence des malformations vasculaires de Saint-Luc](#) vient de coordonner une recherche consacrée à l'analyse d'un traitement susceptible d'améliorer la qualité de vie de ces patients, considérablement dégradée. Leurs [résultats](#) constituent un nouveau pas dans la prise en charge de ces lésions.

Un traitement prometteur

L'étude européenne multicentrique de phase 3 avait pour objectif de mesurer l'efficacité et la sécurité du Sirolimus. Ce médicament, initialement employé dans les traitements contre le cancer, a des propriétés intéressantes dans le traitement des malformations vasculaires à bas débit.

A noter que ce n'est pas la première fois qu'un médicament est détourné de son premier usage afin de traiter ce genre de syndrome. En effet, un [anti-nauséeux avait été pressenti comme efficace afin de contrer les malformations artérioveineuses](#).

La recherche sur le Sirolimus s'est appuyée sur les travaux réalisés par le [laboratoire de génétique](#)

[moléculaire humaine de l'Institut de Duve à l'UCLouvain](#) et du [WEL Research Institute](#).

Rassemblant plusieurs centres de référence de France, de Norvège et de Belgique (Cliniques Saint-Luc), l'étude a réuni 250 patients atteints de malformations veineuses et lymphatiques et traités par Sirolimus pendant deux ans. Présentant peu d'effets secondaires, ce médicament a l'avantage d'être non invasif et peu onéreux.

Améliorations cliniques

Le traitement des patients a été arrêté pendant deux ans afin d'observer plus concrètement les effets du Sirolimus (retour de symptômes, différences entre patients en fonction des gènes, etc.). Les patients étaient régulièrement suivis dans leur centre respectif.

Résultats ? Le Sirolimus a entraîné une amélioration clinique chez 85% des patients, et ce dès les premiers mois pour la majorité d'entre eux. Si 50% ont ressenti à nouveau des douleurs après l'arrêt du traitement, une faible proportion a estimé que cela nécessitait une reprise du médicament. Leur qualité de vie s'est sensiblement améliorée (de 20 à 80%) et le Sirolimus a augmenté la faisabilité de chirurgie ou de sclérothérapie chez certains patients initialement jugés inaptes à l'intervention.

Autre observation importante : « des différences notables apparaissent en fonction du gène concerné. Les malformations veineuses liées au gène nommé PIK3CA semblent répondre plus vite au médicament, mais ont tendance à récidiver plus rapidement. Les cas associés à un autre gène (baptisé TIE2) mettent plus de temps à répondre, mais les effets positifs se poursuivent plus durablement après l'arrêt du Sirolimus », notent les chercheurs.

Si la recherche a bien mis en évidence l'efficacité de ce traitement, il reste encore de nombreuses pistes d'amélioration avec la mise au point d'une posologie de plus en plus personnalisée. Une recherche en cours aux Cliniques Saint-Luc analyse le traitement adapté sur une vingtaine de patients.