



# RÉSUMÉ DES RÉSULTATS DE L'ÉTUDE CLINIQUE EN LANGAGE CLAIR



**Promoteur de l'étude** : Kite Pharma, une division de Gilead Sciences

**Numéro de l'étude Kite** : KT-US-486-0201

**Dates de l'étude** : Juillet 2021 à mai 2024 (l'étude a pris fin plus tôt que prévu)

**Titre abrégé de l'étude** : Étude sur KITE-222 chez des personnes atteintes de leucémie myéloïde aiguë récidivante/réfractaire

**Date de ce résumé en langage clair** : Avril 2025

Les renseignements contenus dans ce résumé ne comprennent aucun renseignement disponible après cette date.

## Merci

Merci aux participants qui ont contribué à l'étude clinique sur **KITE-222**.

Kite Pharma, une division de Gilead Sciences, a commandité cette étude. Nous croyons qu'il est important de partager les résultats avec les participants à l'étude et le grand public.

Si vous avez participé à l'étude et que vous avez des questions sur les résultats, veuillez vous adresser à un médecin ou à un membre du personnel du centre d'étude.

Consultez toujours un médecin ou un fournisseur de soins de santé avant d'apporter tout changement à votre traitement.





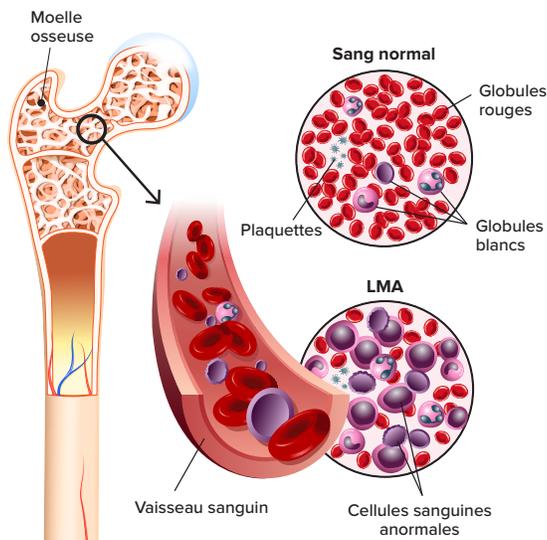
## Renseignements généraux sur l'étude

### Qu'est-ce que la leucémie myéloïde aiguë (LMA) ?

La **LMA** est un type de cancer du sang. Chez les personnes en bonne santé, les cellules sanguines (**cellules souches**, également appelées cellules myéloïdes) de la moelle osseuse produisent 3 principaux types de cellules sanguines : les globules rouges (GR), les globules blancs (GB) et les plaquettes. La moelle osseuse est le tissu spongieux qui se trouve à l'intérieur des os.

Dans la LMA, la moelle osseuse fabrique trop de cellules défectueuses appelées **cellules blastiques**. Ces cellules ne se développent pas ou ne fonctionnent pas comme les cellules sanguines normales. Avec le temps, ces cellules défectueuses s'accumulent et supplantent les cellules sanguines saines. Cela peut entraîner des infections sévères et d'autres problèmes de santé conduisant au décès.

La **chimiothérapie** constitue le traitement usuel pour les personnes atteintes de LMA. La chimiothérapie est une combinaison de médicaments qui peut tuer les cellules cancéreuses. Il existe d'autres options de traitement à l'étude pour traiter la LMA. Cependant, ces traitements peuvent ne pas convenir à tout le monde ou ne pas fonctionner chez certaines personnes. Parfois, le cancer régresse ou disparaît avec le traitement, mais il peut réapparaître plus tard, c'est ce qu'on appelle un **cancer récidivant**. Dans d'autres cas, le cancer ne répond pas du tout au traitement, on parle alors de **cancer réfractaire**.



### Qu'est-ce que KITE-222 ?

**KITE-222** est composé de lymphocytes T à récepteur antigénique chimérique (chimeric antigen receptor, CAR) modifiés. Les lymphocytes T sont un type de lymphocyte. Les lymphocytes sont un type de GB qui font partie du système immunitaire, lequel aide à combattre les infections. KITE-222 est préparé à partir des propres cellules T du patient qui sont prélevées dans le sang, modifiées génétiquement en laboratoire, puis réinjectées au patient sous forme d'une injection lente dans une veine.

Dans le cadre de cette étude, les chercheurs ont cherché à en savoir plus sur un médicament appelé KITE-222 en tant que traitement pour les personnes atteintes de LMA récidivante ou réfractaire. Il s'agissait de personnes ayant développé une LMA avec ou sans expérience antérieure de troubles sanguins ou de traitements antérieurs contre le cancer.

Il s'agit d'une **étude clinique de phase 1**. Cela signifie que les chercheurs ont examiné comment KITE-222 agissait dans le corps humain.

Durant cette étude, les chercheurs ont testé KITE-222 dans le corps humain pour la première fois.

### Quel était l'objectif de cette étude ?

L'objectif de cette étude était d'en savoir plus sur la sécurité et la posologie de KITE-222 chez les participants atteints de LMA récidivante ou réfractaire.

Les chercheurs voulaient trouver la dose de KITE-222 la plus sécuritaire, appelée dose maximale tolérée (DMT), qui n'entraîne pas d'effets secondaires nocifs. Ils ont étudié différentes doses de KITE-222 et ont surveillé étroitement les participants pour déceler tout signe de **toxicité limitant la dose (TLD)**.

### Les principales questions auxquelles les chercheurs souhaitaient répondre dans le cadre de cette étude étaient les suivantes :

- Combien de participants ont présenté des **toxicités limitant la dose (TLD)** durant l'étude, le cas échéant ?  
Une **TLD** est un événement médical suffisamment sévère pour empêcher le médecin de l'étude d'augmenter la dose de KITE-222 du participant.

Les chercheurs ont également voulu savoir si les participants avaient présenté des effets secondaires au cours de l'étude.



## Qui a participé à l'étude ?

- En France et aux États-Unis, **15 participants** atteints de LMA récidivante ou réfractaire ont participé à cette étude.
- **3 participants** ont quitté l'étude avant de prendre KITE-222 et n'ont pas été inclus dans les résultats de l'étude.

Les personnes pouvaient participer à l'étude si elles :



Étaient âgées d'au moins 18 ans



Étaient atteintes d'une LMA récidivante ou réfractaire



Avaient reçu des traitements antérieurs pour la LMA qui n'avaient pas bien fonctionné ou qui avaient cessé de fonctionner



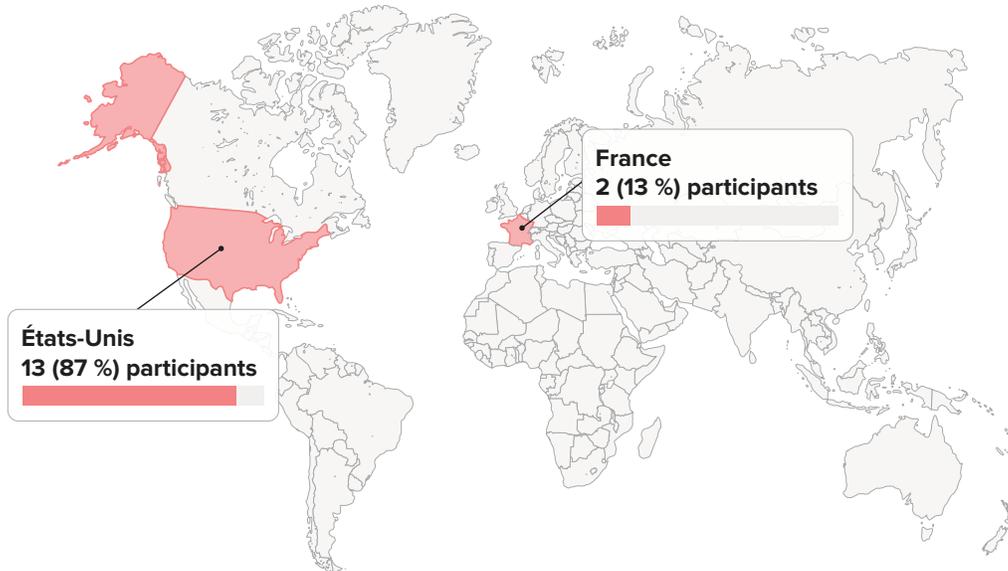
Ont été jugées comme étant aptes à recevoir une greffe de **cellules souches** et pour qui un donneur a été identifié avant le début de l'étude



La greffe de **cellules souches** est une procédure qui remplace les **cellules cancéreuses** par des **cellules saines dans la moelle osseuse**. Les personnes pouvaient recevoir des cellules souches d'un donneur.

Les participants étaient âgés de **26 à 76 ans** lorsqu'ils ont rejoint l'étude.

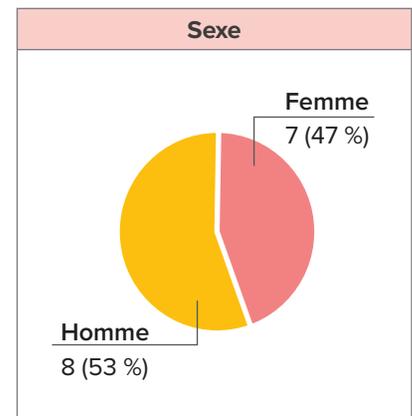
La carte ci-dessous indique le nombre de participants à l'étude dans chaque pays.



Le sexe, la race et l'origine ethnique des participants sont indiqués ci-dessous.

Race	Nombre de participants (%)
Blanc	11 (73 %)
Autre ou plus d'une race	3 (20 %)
Noir ou afro-américain	1 (7 %)

Origine ethnique	Nombre de participants (%)
Non hispanique ou latino	13 (87 %)
Hispanique ou latino	1 (7 %)
Non recueillie	1 (7 %)



## ? Que s'est-il passé durant l'étude ?

Au début de l'étude, les participants ont passé un examen médical de sélection pour déterminer s'ils pouvaient participer à l'étude. Les médecins de l'étude ont vérifié l'état de santé et les antécédents médicaux des participants. Chaque participant a fait l'objet d'un examen d'imagerie pour déterminer le degré de propagation de son cancer. Il s'agissait d'une étude **ouverte**, ce qui signifie que chaque participant savait quel traitement il prenait, et que les médecins et le personnel de l'étude le savaient également.

Durant l'étude, les participants ont fourni leurs échantillons de sang. Chaque échantillon a été utilisé pour collecter les cellules T, qui ont ensuite été utilisées pour produire KITE-222. Les participants dont la LMA s'est aggravée au cours de cette partie de l'étude ont pu recevoir un traitement standard. Les soins standards étaient le meilleur traitement de la LMA dont disposaient les chercheurs au moment où ils traitaient chaque participant.

Avant que les participants prennent KITE-222, ils ont reçu une chimiothérapie pendant un total de 3 jours. Cela a été fait 5 jours avant la prise de KITE-222. Le traitement comprenait :

- **La cyclophosphamide**, administrée par injection lente dans une veine
- **La fludarabine**, administrée par injection lente dans une veine

Les participants ont été placés dans l'un des 3 groupes de traitement. KITE-222 a été administré en une dose unique d'injection lente dans une veine. Les doses étaient basées sur le poids des participants. Les participants du groupe 1 ont commencé par recevoir une faible dose de KITE-222. Les médecins de l'étude ont examiné les résultats de ces participants. Sur la base de ces résultats, ils ont décidé d'augmenter ou non la dose pour le groupe suivant (un processus appelé à doses croissantes). Les chercheurs utilisent les études à doses croissantes pour connaître la sécurité d'emploi d'une dose spécifique avant d'administrer une dose plus élevée aux participants. Dans cette étude, le groupe 1 a reçu une faible dose, le groupe 2 une dose plus élevée et le groupe 3 la dose la plus élevée.



Après avoir reçu KITE-222, les participants sont restés à la clinique de l'étude pendant 28 jours. Au cours de cette période, les médecins de l'étude ont observé les participants pour détecter d'éventuels problèmes médicaux. Les participants ont eu une visite de suivi jusqu'à 3 mois après avoir reçu KITE-222. Les médecins de l'étude ont examiné les résultats des participants qui ont reçu KITE-222. Si les taux de neutrophiles (un type de globules blancs qui combattent les infections) du participant étaient restés bas pendant une longue période, le médecin pouvait décider qu'il avait besoin d'une greffe de cellules souches.

L'étude prévoyait d'inscrire d'autres participants une fois que les chercheurs auraient identifié une dose appropriée de KITE-222. Cependant, après avoir analysé les données des participants des groupes 1, 2 et 3, les médecins de l'étude ont constaté que KITE-222 n'était pas bénéfique pour les participants. **Par conséquent, Kite a décidé de mettre fin à l'étude. Cela n'est pas dû à des problèmes médicaux que les participants ont eus pendant l'étude. L'étude a été interrompue parce que KITE-222 n'a pas fonctionné comme prévu.**



## Quels étaient les résultats de l'étude ?

Voici un résumé des principaux résultats de cette étude. Les résultats individuels de chaque participant peuvent être différents et ne figurent pas dans ce résumé. Une présentation détaillée des résultats est disponible sur les sites Web mentionnés à la fin de ce résumé.

### Combien de participants ont présenté des toxicités limitant la dose (TLD) durant l'étude, le cas échéant ?

Les médecins de l'étude ont vérifié si les participants présentaient des TLD. Les TLD sont des événements médicaux liés au KITE-222 que les participants ont eus dans les 28 jours après avoir reçu KITE-222.

Les résultats incluaient 11 participants qui avaient reçu KITE-222 dans les groupes 1, 2 ou 3 et qui avaient été suivis pendant au moins 28 jours après la première dose.

Le tableau ci-dessous indique le nombre de participants qui ont eu des TLD au cours de l'étude.

Toxicités limitant la dose				
	Groupe 1 (sur 3 participants)	Groupe 2 (sur 3 participants)	Groupe 3 (sur 5 participants)	Total (sur 11 participants)
	Nombre de participants (%)			
Combien de participants présentaient des TLD ?	0	0	1 (20 %)	1 (9 %)

Dans l'ensemble, 1 participant du groupe 3 a présenté une TLD durant l'étude. Les chercheurs ont examiné les résultats et les doses de KITE-222 testées dans les groupes 1 et 2 ont été considérées comme sûres.



## Quels effets secondaires les participants ont-ils présentés durant l'étude ?

Des événements médicaux indésirables peuvent survenir chez les participants à l'étude lorsqu'ils prennent le traitement à l'étude. Dans ce résumé, **les effets secondaires** sont définis comme des événements médicaux indésirables que les médecins de l'étude pensaient être causés par le traitement à l'étude.

Les résultats de plusieurs études sont généralement nécessaires pour déterminer si un traitement provoque réellement un effet secondaire.

Un effet secondaire est considéré comme étant **grave** s'il :

- entraîne la mort
- met la vie en danger
- est jugé important sur le plan médical par le médecin de l'étude
- cause des problèmes durables
- nécessite des soins hospitaliers
- cause une anomalie congénitale

Trois (3) participants n'ont pris aucun traitement à l'étude. Ainsi, les résultats de cette section ne comprennent que 12 participants.

**Aucun participant n'est décédé en raison d'effets secondaires.**

Le tableau ci-dessous indique le nombre de participants ayant eu des effets secondaires au cours de l'étude.

Effets secondaires globaux			
	Groupe 1 (sur 3 participants)	Groupe 2 (sur 3 participants)	Groupe 3 (sur 6 participants)
	Nombre de participants (%)		
Combien de participants ont présenté des effets secondaires graves ?	0	1 (33 %)	2 (33 %)
Combien de participants ont présenté des effets secondaires ?	1 (33 %)	3 (100 %)	5 (83 %)

Le tableau ci-dessous présente tous les effets secondaires graves survenus au cours de l'étude. Certains participants peuvent avoir eu plus de 1 effet secondaire grave.

Risques/effets secondaires			
	Groupe 1 (sur 3 participants)	Groupe 2 (sur 3 participants)	Groupe 3 (sur 6 participants)
	Nombre de participants (%)		
<b>Excès de liquide autour du cœur qui l'empêche de pomper suffisamment de sang</b> (tamponnade cardiaque)	0	1 (33 %)	0
<b>Maladie du cerveau qui altère sévèrement la pensée</b> (encéphalopathie)	0	0	1 (17 %)
<b>Le système immunitaire est hyperactif et attaque les cellules normales</b> (lymphohistiocytose hémophagocytaire)	0	0	1 (17 %)
<b>Hypotension</b> (faible tension artérielle)	0	0	1 (17 %)
<b>Accumulation de liquide autour du cœur</b> (épanchement péricardique)	0	1 (33 %)	0
<b>Inflammation de la membrane autour du cœur</b> (péricardite)	0	1 (33 %)	0

## Quels étaient les effets secondaires non graves ?

Le tableau ci-dessous présente les effets secondaires non graves les plus fréquents survenus chez plus de 30 % des participants à l'étude durant l'étude. Ces effets secondaires n'étaient pas de nature grave et ne répondaient pas à la définition d'« effets secondaires graves » mentionnée dans la section ci-dessus de ce résumé.

D'autres effets secondaires non graves ont été observés, mais chez un plus petit nombre de participants. Certains participants ont pu présenter plus de 1 effet secondaire non grave.

Effets secondaires non graves les plus fréquents			
	Groupe 1 (sur 3 participants)	Groupe 2 (sur 3 participants)	Groupe 3 (sur 6 participants)
	Nombre de participants (%)		
<b>Fièvre</b> (pyrexie)	1 (33 %)	2 (67 %)	5 (83 %)
<b>Hypotension</b> (faible tension artérielle)	0	2 (67 %)	2 (33 %)
<b>Diminution du taux d'oxygène atteignant les tissus du corps</b> (hypoxie)	0	1 (33 %)	3 (50 %)



## Comment cette étude a-t-elle aidé les chercheurs ?

Les chercheurs en ont appris davantage sur l'innocuité de KITE-222 chez les personnes atteintes de LMA récidivante ou réfractaire.

Les résultats de plusieurs études sont nécessaires pour déterminer quels sont les traitements efficaces et sûrs. Ce résumé ne montre que les résultats principaux de cette étude. D'autres études pourraient fournir de nouveaux renseignements ou des résultats différents.

KITE a décidé d'interrompre l'étude après avoir analysé les données de 12 participants. L'étude a été interrompue parce que KITE-222 n'a pas donné les résultats escomptés et non en raison de problèmes médicaux rencontrés par les participants au cours de l'étude.

Gilead Sciences ne prévoit pas mener d'autres études cliniques sur KITE-222.



## Où puis-je en apprendre davantage sur cette étude ?

Vous pouvez trouver de plus amples informations sur cette étude sur les sites Web énumérés ci-dessous.

Organisation (site Web)	Identifiant de l'étude
<b>Agence européenne des médicaments</b> <a href="http://www.euclinicaltrials.eu">www.euclinicaltrials.eu</a>	EU CT Number : <a href="#">2023-507748-35-00</a>
<b>National Institutes of Health (NIH) des États-Unis</b> <a href="http://www.clinicaltrials.gov">www.clinicaltrials.gov</a>	Identifiant ClinicalTrials.gov : <a href="#">NCT04789408</a>
<b>Essais cliniques de Gilead</b> <a href="http://www.gileadclinicaltrials.com">www.gileadclinicaltrials.com</a>	<a href="#">KT-US-486-0201</a>

Veillez noter que les informations figurant sur ces sites Web peuvent être présentées d'une manière différente de celle de ce résumé.

**Titre complet de l'étude :** Étude multicentrique, ouverte, de phase 1 évaluant l'innocuité de KITE-222, une thérapie par lymphocytes T CAR anti-CLL-1 autologue, chez des sujets atteints de leucémie myéloïde aiguë récidivante/réfractaire.

Pour en savoir plus sur les essais cliniques en général, veuillez visiter cette [page](#) sur le site Web [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov).

**Kite Pharma, une division de Gilead Sciences**  
2400 Broadway, Santa Monica, CA 90404, États-Unis.  
Adresse e-mail : [medinfo@kitepharma.com](mailto:medinfo@kitepharma.com)

## Merci

Les participants aux études cliniques font partie d'une vaste communauté de personnes qui prennent part à la recherche clinique dans le monde entier. Ils aident les chercheurs à répondre à d'importantes questions de santé et à trouver des traitements médicaux pour les patients.

