

**PERFORMUS : SUPERFICIAL SLOW-FLOW VASCULAR MALFORMATIONS TREATED WITH SIROLIMUS (ClinicalTrials.gov Identifier: NCT02509468)**

**PHRCN 2014 - Promoteur : CHRU DE TOURS**

**Investigateur coordinateur : Pr Annabel MARUANI**

**Résumé :** Les malformations vasculaires (MV) sont hémodynamiquement divisées en MV de haut débit et MV de bas débit (MV capillaires, veineuses, lymphatiques). L'objectif de cette étude est de tester le sirolimus (inhibiteur mTOR) par voie orale chez les enfants de 6 à 18 ans ayant une MV de bas débit compliquées, ne répondant pas aux thérapies conventionnelles. Le sirolimus inhibe directement mTOR, protéine qui intervient dans la croissance et la prolifération cellulaires, l'angiogenèse et la lymphangiogenèse. Les critères d'évaluation sont l'imagerie (IRM) et la clinique (patient et médecin).

**Principaux critères d'inclusion :** enfants de 6 à 18 ans, ayant une malformation vasculaire à flux lent confirmée par IRM, incluse ou non dans un syndrome génétique (hormis malformation lymphatique macrokystique), ne mettant pas en jeu le pronostic vital.

**Principaux critères de non inclusion :** malformation vasculaire mettant en jeu le pronostic vital ; toute contre-indication au sirolimus (vaccinations non à jour, allergie à la molécule ou à ses excipients, immunosuppression, infection chronique, hémopathie, insuffisance hépatique, possibilité d'une grossesse) ; toute contre-indication à la réalisation d'une IRM.

**Avancement du protocole :** inclusions terminées (64 enfants), suivi des enfants en cours.