

**TOPICAL : Sirolimus topique 0,1% dans les malformations cutanées lymphatiques microkystiques : essai thérapeutique de phase II, randomisé, en double aveugle, en comparaison intra-individuelle versus véhicule (ClinicalTrials.gov Identifier: NCT03972592)**

**PHRCN 2017 - Promoteur : CHRU DE TOURS**

**Investigateur coordinateur : Pr Annabel MARUANI**

**Résumé :** Les malformations vasculaires lymphatiques microkystiques cutanées (MLMC) se présentent comme des amas de petites vésicules séro-sanglantes, très gênantes (suintements, saignements, gêne esthétique, etc.). Elles peuvent s'associer à des malformations lymphatiques sous-jacentes.

Le sirolimus est un médicament pris par voie orale qui inhibe directement mTOR, protéine qui intervient dans la croissance et la prolifération cellulaires, l'angiogenèse et la lymphangiogenèse. Il est utilisé dans les malformations vasculaires compliquées. La voie locale (topique) n'est pas commercialisée.

L'objectif de cette étude est de comparer le sirolimus en préparation magistrale concentré à 0,1% sur une zone de la MLMC, où elle sera appliquée pendant 3 mois, à une crème placebo (véhicule), appliquée sur une autre zone de la MLMC. Au bout des 3 mois d'application des 2 produits (en aveugle), l'ensemble de la MLMC sera traitée par sirolimus topique 0,1%.

**Principaux critères d'inclusion :** sujets d'au moins 6 ans, enfants et adultes, ayant une malformation lymphatique microkystique cutanée (lymphangiectasies) d'au moins 20 cm<sup>2</sup>, avec ou sans anomalies associées, gênantes.

**Principaux critères de non inclusion :** patients traités par inhibiteur de mTOR ou autre traitement par voie systémique pour la malformation vasculaire ; toute contre-indication au sirolimus (allergie à la molécule ou à ses excipients, immunosuppression, infection chronique, hémopathie, insuffisance hépatique, possibilité d'une grossesse).

**Avancement du protocole :** mises en place en cours, recrutement en cours (55 sujets attendus).