

NEWSLETTER DU CENTRE DE RÉFÉRENCE DES APLASIES MÉDULLAIRES

Juin 2026

Nous avons le plaisir de vous faire parvenir la **15ème Newsletter** du centre de référence *CeRAMIC*.



Agenda 2026

Prochaine journée annuelle : le vendredi 2 octobre 2026, Hôpital Saint-Louis, Paris.

[Programme](#) & [Inscription](#)

Prochaines sessions : ETP-HPN : [mardi 6 octobre et mardi 17 novembre 2026](#)



Toutes les informations du programme : cliquer [ici](#)

Journée Associations de patients :

17 et 18 Octobre 2026 : week-end famille association Française de la maladie de Fanconi

5 juin 2027 : 8^e Journée nationale d'information de l'association HPN France -Aplasia Médullaire

Appels à projet HPN-France

L'association HPN-France propose un appel à projet pour soutenir la recherche fondamentale, translationnelle et clinique sur l'Hémoglobinurie Paroxystique Nocturne (HPN) et/ou l'Aplasia Médullaire Acquise (AMA).

[Texte-2-HPN-AM-AAP2026-.pdf](#)

Date limite : 8 septembre 2026, 17h, budget : 20 000 euros

PNDS

La publication de la mise à jour du PNDS est prévue à la rentrée. Il sera largement diffusé auprès de l'ensemble de notre réseau.

NOUVELLES CARTE URGENCE

De nouvelles cartes d'urgence aplasie médullaire et HPN, sous l'égide de la filière MaRIH ont été réalisées. Elles sont disponibles sur notre site internet dans l'espace professionnel. Elles seront envoyées à l'ensemble des centres de compétence et les centres RIME par voie postale.

[Lien](#) carte aplasie et HPN

LIVRET PATIENT

Le Livret « **prise en charge d'une HPN et FAQ** » a été mis jour et sera disponible très prochainement en version téléchargeable sur notre site. Il sera envoyé à l'ensemble des centres de compétence et centres RIME par voie postale. La version mise à jour du livret « **prise en charge d'une aplasie médullaire** » sera également bientôt disponible et également transmise aux centres.

ETP-HPN

Une vidéo témoignage patient a été réalisée avec le concours de la filière MaRIH. Elle est disponible sur notre site, sur le site de l'association de patient et de la filière MaRIH. N'hésitez pas à la partager auprès de vos patients.

[Visionner la Vidéo](#)

N'hésitez pas à adresser vos patients désireux de faire l'ETP pour les prochaines sessions, la prochaine prévue est à l'automne 2026 à Saint-Louis (cr.aplasiemedullaire.sls@aphp.fr).

Nous développons actuellement la digitalisation du programme ETP-HoPE afin de permettre aux patients non suivis en Ile de France et ne pouvant se déplacer sur Paris d'intégrer le programme. Le programme sera également élargi aux aidants qui a été une demande forte des patients. Nous y répondrons à travers cette digitalisation.

Observatoire RIME

Notre réseau continue de s'étendre avec plus de **117** centres adultes et pédiatriques actifs, **2851** patients inclus avec plus de **3973** échantillons biobanqués et stockés au niveau du CRB BIRTH du Pr Emmanuelle Clappier, Hôpital Saint-Louis.

 **A noter pas de biobanque RIME du 27/07/2026 au 01/09/2026**

Les [études secondaires](#) issues de l'observatoire RIME sont décrites sur notre site internet. Les projets d'études rétrospectives cliniques et translationnelles à partir de l'observatoire et de la biobanque RIME sont à soumettre au COPIL du centre de référence. Vous pouvez vous rapprocher du centre de référence à tout moment pour toute proposition d'études. Le centre de référence procédera aux démarches réglementaires en vigueur pour les différents projets.

 Nous portons les études d'utilisation en vie réelle des inhibiteurs proximaux du complément. Afin d'avoir des cohortes exhaustives, nous vous remercions d'inclure et de signaler tous vos patients sous inhibiteurs proximaux. N'oubliez pas également de faire compléter les questionnaires de qualité de vie QLQ-C30 à vos patients tout au long de leur suivi.

 Le projet Fanconi et Fertilité, soutenu par l'association AFMF, porté par le Dr Flore Sicre de Fontbrune se poursuit : pensez à proposer les auto-questionnaires patientes et patients pour tout patient(e) atteint de la maladie de Fanconi et âgé de plus de 15 ans. N'hésitez pas à contacter le CR et Dr Sicre et le centre de référence pour plus d'informations. Questionnaires

Etat des lieux des protocoles institutionnels en cours d'inclusion

Merci de continuer à inclure tous les patients éligibles dans les protocoles prospectifs HaploEmpty, APARR, HaploRescue et HaploFanconi. Nous comptons sur vous.

Titre	Topologie / critères	Endpoint primaire	Nbre d'inclusion/attendu	Fin théorique inclusion	Centre
HAPLO-EMPTY (NCT05126849) PHRC-19	Phase 2, AMA réfractaire ou en rechute 3 à 35 ans	Survie globale à 2 ans de la greffe haplo-identique de 80%	30 patients greffés / 31 attendus	06/01/27	14 centres recruteurs

HAPLO-FANCONI (NCT05903365) <i>Financement Fondation MSD Avenir</i>	Observationnelle 6 mois- 60 ans	Survie globale à 2 ans des patients en impasse thérapeutique sur le plan hématologique du fait de l'absence de donneur HLA identique et ayant reçu une greffe haploidentique	9 patients greffés/ 18 attendus	22/09/26 <i>Prolongation demandée</i>	6 centres recruteurs
APAAR (NCT06646497) PHRC-22	Phase 2, AMA réfractaire ou en rechute, 40 à 60 ans	GRFS à 2 ans après l'allogreffe de CSH	9 greffés/52 attendus	07/01/27	4 centres recruteurs
HAPLO-RESCUE (NCT05126186) PHRC-19	Phase 2, non prise de greffe primaire ou secondaire, toute hémopathie 3 mois à 70 ans <i>Modification demandée pour étendre l'inclusion des patients < 75 ans</i>	Survie globale à 1 an de la greffe haploidentique	15 greffés/ 31 attendus	07/04/27	13 centres recruteurs

Publications récentes

- HPN**

Iptacopan monotherapy resulted in increased hemoglobin level in patients with PNH and hemoglobin ≥ 10 g/dL after anti-C5 therapy. Published, Open access, Manuscript ID: HEM-2026-0130.R1, Article type: Article, DOI: 10.1002/hem3.70384 Publication: HemaSphere, Responsible Corresponding Author: Austin kulasekararaj

Epidemiology and care management of Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH) in a real-world setting in France: Description from the French National Hospitalization Database. Peffault de Latour R, Pibre S, Vercruyssen J, Desjuzeur-Bellais ML, Pau D, Bénard S, Chillotti L, Grandfils N. PMID: 41990028

Indirect treatment comparison of iptacopan versus pegcetacoplan for patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria and residual anemia despite C5 inhibitor treatment. Austin Kulasekararaj 1,2,3,*, Phillip Scheinberg 4, Maria-Magdalena Balp 5, Olivier Somenzi 5, Anggie Wiyani 6, Josefin Snellman 5, Sarah Walsh 7, Katharina Pannagl 6,‡, Jason Steenkamp 7, Régis Peffault de Latour. PMID: 41852168

- Aplasies médullaires acquises**

Upfront alemtuzumab-based MUD HSCT in childhood aplastic anemia: excellent survival and GRFS, but immune challenges persist. Petit AF, Sterin A, Gandemer V, Goudet C, Fahd M, Bruno B, Stofleth G, Buchbinder N, Angoso M, Pochon C, Rialland F, Lainey E, Larcher L, Ba I, Robin M, Nguyen-Quoc S, Galimard JE, Dalle JH, Peffault De Latour R, Renard C, Sicre De Fontbrune F. PMID: 42115675

Development and validation of the predictive aplastic score system (PASS): a simplified tool to diagnose acquired aplastic anemia in adults. Aleixo G, Cheon H, Zheng J, Soewito S, Lee J, Kaphan E, Kalakuntla N, Jen WY, Kotha S, Rupsee A, Djulbegovic M, Matthews JA, Kadia TM, Olson TS, Peffault de Latour R, Sicre De Fontbrune F, Bat T, DiNardo CD, Babushok DV. PMID: 42045556

Clonal Dynamics of Hematopoiesis in Aplastic Anemia after Immunosuppression and Eltrombopag. Kaya DE, Cook R, Iacobelli S, Napolitani G, Gerlevik S, Seymen N, Sicre de Fontbrune F, Griffin M, Friieri C, Halkes CJM, Recher C, Barraco F, Forcade E, Méar JB, Laurino M, Drexler B, Daguindau E, van Os M, Terwel S, Dufour C, Karimi MM, Kulasekararaj AG, Peffault De Latour R, Risitano AM, Mufti G. PMID: 42047558.

Hematopoietic stem cell transplantation is effective in achieving long-term survival for post-aplastic anemia myeloid neoplasms: the EBMT Severe Aplastic Anemia Report. Henrique Prata, Dirk-Jan Eikema , Brian Piepenbroek , Austin Kulasekararaj , Beatrice Drexler , Jennifer M-L Tjon , Krista Vaht , Mahmoud Aljurf , Patrice Chevallier , Tobias Gedde-Dahl , Ain Kaare , Urpu Salmenniemi, Thomas Schroeder , Jenny Byrne , Jérôme Cornillon , Fiorenza Barraco , Johan Maertens , Eleni Tholouli , Uwe Platzbecker , Nicolaus Kröger , Didier Blaise , Simona Sica , Robert Zeiser Antonio Maria Risitano , Régis Peffault de Latour. PMID: 40605711

- **Aplasies médullaires constitutionnelles**

Predisposition to ALL and Solid Tumors Rather Than Bone Marrow Failure in <i>FANCM</i>-Associated Fanconi Anemia. Pegoraro F, Larcher L, Kim R, Pagès M, Passet M, Caye-Eude A, Fahd M, Brethon B, Hernandez L, Vasquez N, Da Costa M, Auger N, Lachaud C, de Tersant M, Luporsi E, Sébert M, Dalle JH, Peffault de Latour R, Clappier E, Stoppa-Lyonnet D, Leblanc T, Paillard C, Sicre de Fontbrune F, Soulier J. PMID: 41881068

Hematologic Landscape of Adult Patients With Diamond-Blackfan Anemia Syndrome. Lecornec N, de Fontbrune FS, Forcade E, Garçon L, Terriou L, Cougoul P, Delavigne K, Marie I, Brindel I, Deconinck É, Daguindau É, Amé S, Ledoux MP, Sanhes L, Nimubona S, Leverger G, de Montalembert M, de Latour RP, Dalle JH, Fenaux P, Costa LD, Leblanc T. PMID: 41498485

Efficacy and safety of danazol for pulmonary fibrosis or bone-marrow failure associated with telomere-related gene mutation. Sicre de Fontbrune F, Jouneau S, Cottin V, Prevot G, Nunes H, Terriou L, Marchand-Adam S, Crestani B, Marçais A, Bergeron A, Debray MP, Plessier A, Lainey E, Ba I, Kannengiesser C, Desseaux K, Resche-Rigon M, Biard L, Borie R. PMID: 41953763

Allogeneic hematopoietic stem cell transplantation in ERCC6L2 disease. Hakkarainen, Marja; Sicre de Fontbrune, Flore; Kaaja, Ilse; Douglas, Suvi P M; Dalle, Jean-Hugues; Risitano, Antonio M; Kulasekararaj, Austin G; Alsultan, Abdulrahman; Cutler, Corey S; Ho, Vincent T; Hellstrom-Lindberg, Eva S; Mielke, Stephan; Myhre, Anders Eivind; Rihani, Rawad; Abu Shanap, Mayada; Hashem, Hasan; Shimamura, Akiko; Rowe, R Grant; Auer, Franziska; Beier, Fabian; Desnica, Lana; Hough, Rachael E; Jafri, Syed Rafat Ali; Ayas, Mouhab F; Jardine, Laura; Fernandez-Mellid, Eugenia; Corrales Insa, Irene; Richardson, Deborah Susan; Ozbek, Namik Yasar; Zaniowska-Tekieli, Anna; Gozdzik, Jolanta; Ryhänen, Sampsa Johannes; Niinimäki, Riitta; Jahnukainen, Kirsi; Salmenniemi, Urpu; Kilpivaara, Outi; Wartiovaara-Kautto, Ulla. PMID: 41628318

Un grand merci à tous pour votre participation active à l'observatoire RIME.

Nous contacter : cr.aplasiemedullaire.sls@aphp.fr

S'informer : www.aplasiemedullaire.com

N'oubliez pas de consulter régulièrement notre site avec les actualités mises à jour

Appels à projets recherche : site www.marih.fr