

# Résumé de l'étude POPB-TOX

---

**Titre de l'étude: efficacité et sécurité des injections intramusculaires de toxine botulinique précoces dans la prévention de la déformation de l'épaule des nourrissons atteints de paralysie obstétricale du plexus brachial : un essai multicentrique contrôlé randomisé en double aveugle (POPB-TOX).**

L'objectif de cette étude est d'évaluer l'efficacité d'injections de toxine botulinique précoce dans la limitation de la progression de la déformation osseuse de l'épaule et l'amélioration des mouvements et de la fonction chez le nourrisson présentant une paralysie du plexus brachial.

La toxine botulinique est un traitement local agissant sur le muscle, utilisé dans de nombreuses indications thérapeutiques, notamment pour le traitement de maladies neurologiques, y compris chez l'enfant. Chez les enfants avec paralysie du plexus brachial, les injections de toxine botulinique dans les muscles rotateurs internes de l'épaule générant la déformation osseuse sont un traitement prometteur de la prévention de la déformation osseuse, dans l'amélioration des possibilités de mouvements et dans le maintien de la fonction du membre supérieur.

Cette étude est proposée à environ 60 enfants âgés de 10 à 11 mois, présentant une paralysie obstétricale de plexus brachial et suivis dans différents centres hospitaliers en France. Les enfants inclus dans cette étude ne devront pas présenter de contre-indication à la réalisation d'IRM et à la toxine botulinique. La participation de l'enfant à l'étude sera d'environ 8 mois.

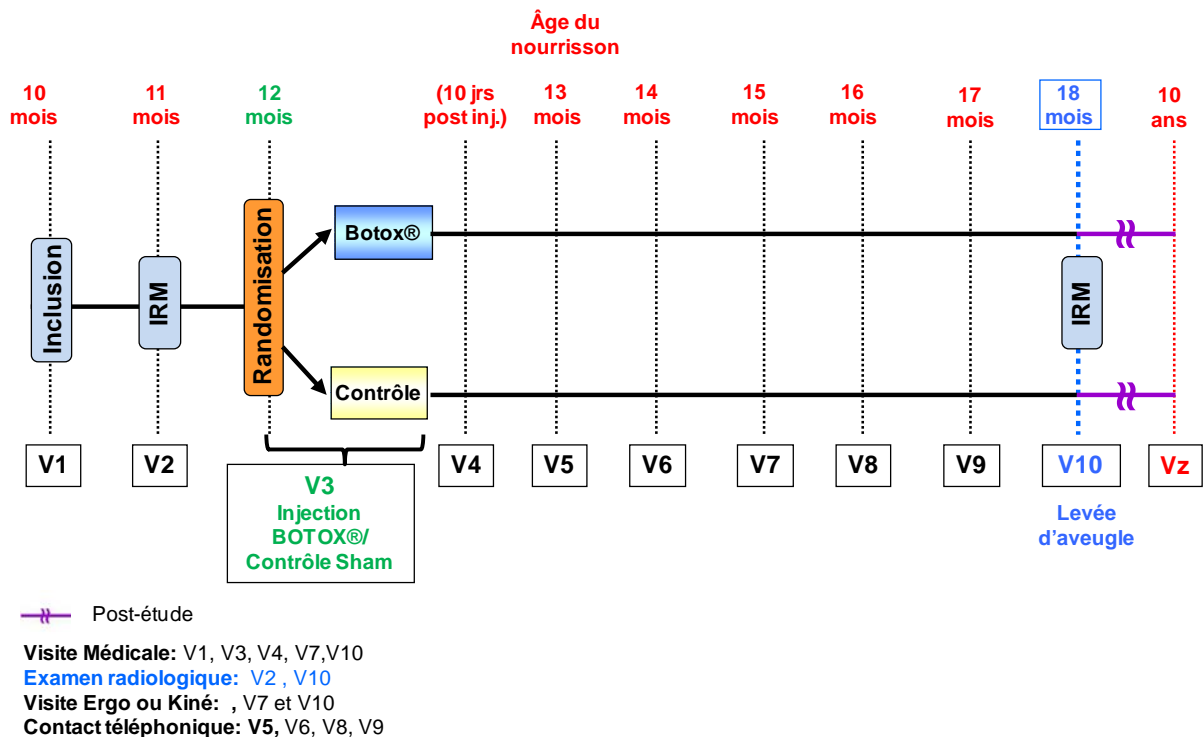
Le CHRU de Brest est le promoteur de cette étude, il en est responsable et en assure l'organisation. L'étude est financée par le ministère de la santé et a obtenu toutes les autorisations nécessaires à sa mise en œuvre auprès de l'ANSM et du comité de protection des personnes. Un contrat d'assurance a été souscrit par le promoteur pour cette étude.

- **DEROULEMENT DE L'ETUDE**

Le consentement des parents est requis pour permettre à l'enfant de participer à cette étude.

Au cours de cette étude, l'enfant effectuera son suivi habituel par son kinésithérapeute rééducateur mise en place depuis le début de sa prise en charge. Le suivi chirurgical /MPR habituel pourra se poursuivre avec le médecin référent habituel de l'enfant en parallèle de l'étude. Dans le cadre de l'étude, l'enfant aura certains examens standardisés réalisés par un thérapeute (appelé ci-dessous évaluateur). Ce thérapeute (kinésithérapeute, ergothérapeute ou médecin MPR selon le site où se pratique cette étude) aura été formé à la pratique des tests réalisés dans cette étude.

Schéma 1 : Schéma de l'étude



L'étude commence par une visite dans un des centres d'inclusion durant laquelle le médecin de l'étude s'assure des critères d'éligibilité de l'enfant à l'étude à 10 mois d'âge. Suite à une IRM des 2 épaules à 11 mois d'âge, le médecin de l'étude évaluera le niveau de déformation osseuse de l'épaule. Si l'enfant ne présente pas de déformation osseuse, il ne poursuivra pas l'étude mais sa surveillance médicale habituelle sera poursuivie. En revanche, s'il présente une déformation osseuse, il participera à la suite de l'essai par une visite de randomisation (tirage au sort) et de traitement à l'hôpital. La randomisation permettra de déterminer si l'enfant recevra le traitement par injection toxine botulinique ou le contrôle Sham (*même procédure que l'injection de toxine botulinique mais sans injection de produit et sans piqure*). Cette étude est en double aveugle, c'est-à-dire que ni les parents et l'enfant, ni le personnel soignant autour de l'enfant (médecin, évaluateur, kinésithérapeute, ...) ne saura quelle est la nature du traitement que l'enfant a reçu. Seul le médecin qui réalise les injections aura connaissance du traitement reçu par l'enfant, il ne participera ensuite pas au suivi de l'enfant.

Dans les suites des injections, dans le cadre de l'étude, un suivi de la tolérance est prévu tous les mois (appel téléphonique ou lors des suivis). Un suivi clinique avec évaluations standardisées est prévu à 3 mois et 6 mois des injections (V7 et V10) pour évaluer les conséquences des injections sur la mobilité (active et passive) et la fonction du membre supérieur. Une IRM de contrôle pour évaluer l'évolution de la déformation de l'épaule est également prévue à 6 mois des injections (V10). L'aveugle est alors levé et les parents, et professionnels soignants autour de l'enfant peuvent avoir connaissance du traitement (toxine botulinique ou sham).