

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	Phase/Catégorie	Centre coordinateur	Centres associés ouverts en France	Nombre de centres ouverts en France	Nombre de patients attendus France	Nombre de patients inclus France	Date théorique de fin des inclusions	Nombre de patients attendus Monde / Europe	Nombre de centres ouvert dans le monde	Etat d'avancement
Hémophilie A	Sévère	≥12 ans	Novo Nordisk A/S	turoctocog alfa pegol NNC 0129-0000-1003 (N8-GP)	pathfinder™2 NN7088-3859	Etude multicentrique, évaluant la sécurité et l'efficacité, incluant la pharmacocinétique, du NNC-0129-0000-1003 utilisé pour le traitement et la prophylaxie des événements hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A	2011-001142-15	NCT01480180	Phase 3	Necker	Lyon Nantes Kremlin-Bicêtre	4	ND	ND	NA	186	93	Suivi
Hémophilie A	Sévère	≥12 ans	Novo Nordisk A/S	turoctocog alfa pegol NNC 0129-0000-1003 (N8-GP)	pathfinder™3 NN7088-3860	Etude multicentrique, évaluant la sécurité et l'efficacité du NNC-0129-0000-1003 utilisé en situation chirurgicale chez les patients atteints d'hémophilie A	2011-001144-30	NCT01489111	Phase 3	Nantes	Lyon	2	ND	ND		43	30	Inclusion
Hémophilie A	Sévère	≤11 ans	Novo Nordisk A/S	turoctocog alfa pegol NNC 0129-0000-1003 (N8-GP)	pathfinder™5 NN7088-3885	Etude multicentrique, évaluant la sécurité et l'efficacité, incluant la pharmacocinétique, du NNC-0129-0000-1003 utilisé pour le traitement et la prophylaxie des événements hémorragiques chez les enfants atteints d'hémophilie A	2012-001711-23	NCT01731600	Phase 3	Toulouse	Lyon Lille Necker	3	ND	ND	NA	68	51	Suivi
Hémophilie A	Sévère	≥12 ans	Novo Nordisk A/S	turoctocog alfa pegol NNC 0129-0000-1003 (N8-GP)	pathfinder™7 NN7088-4033	Étude multicentrique, comparative, en double aveugle, randomisée, croisée, évaluant la pharmacocinétique et la sécurité d'une dose unique de turoctocog alfa pégol ancien procédé de fabrication) et du turoctocog alfa pégol «nouveau procédé de fabrication» chez des patients hémophiles A sévère	2015-005327-63	NCT02920398	Phase 1	Nantes	Lyon	2	ND	ND	NA	21	14	Suivi
Hémophilie A	Sévère	≥12 ans	Hoffmann-La Roche	Emicizumab; ACE910; RO5534262	HAVEN 3 (BH30071)	Etude de phase III, randomisée, multicentrique, en ouvert évaluant l'efficacité, la sécurité et la pharmacocinétique du traitement en prophylaxie par RO5534262 versus un traitement à la demande chez les patients Hémophiles A sans inhibiteur	2016-000072-17	NCT02847637	Phase 3	Lyon	Kremlin-Bicêtre Necker	3	ND	ND	NA	145	44	Suivi
Hémophilie A	Sévère	Pédiatrie	OCTAPHARMA	"Human-cl rhFVIII"	GENA05	Etude clinique prospective chez les enfants hémophiles A sévères PUPS pour l'évaluation de l'efficacité de l'immunogénicité et de la pharmacocinétique et de la sécurité de du facteur VIII humain "Human-cl rhFVIII"	2012-002554-23	NCT01712438	Phase 3	Rennes	Nantes Paris Necker Kremlin Bicêtre Caen Marseille Tours	7	ND	4	oct-16	110	37	Suivi
Hémophilie A	Sévère	≥18 ans	Octapharma	Human cl rhFVIII	GENA-21B	Étude prospective, en ouvert, multicentrique de phase IIIb pour évaluer l'efficacité et la tolérance d'une prophylaxie individualisée avec Human-cl rhFVIII chez des patients atteints d'hémophilie A sévère préalablement traités	2014-002986-30	NCT02256917	Phase 3	Nantes	Lyon Clermont-Ferrand Necker Patiens Rennes Toulouse Kremlin Bicetre	7	ND	ND	ND	55	30	Inclusion
Hémophilie A	≤2%	60 patients < 12 ans 10 patients entre 14 et 18 ans	Octapharma	Human cl rhFVIII	GENA-99	Etude post-AMM prospective, multinationale, non interventionnelle, visant à documenter l'immunogénicité, la tolérance et l'efficacité à long terme de Human-cl rhFVIII (simoctocog alfa) chez des patients hémophiles A traités dans la pratique clinique courante	NA	NCT02962765	Obs.	Necker	Rennes St Etienne Rouen Toulouse Nantes Caen	ND	ND	ND	ND	ND	ND	ND
Hémophilie A	Sévère Modérée	≥ 5 ans	ROCHE	NA	HEMONIS	Prise en charge thérapeutique des patients adultes et enfants atteints d'hémophilie A	NA	ND	Obs.	ND	Rennes	ND	ND	ND	ND	ND	ND	Inclusion

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	Phase/Catégorie	Centre coordinateur	Centres associés ouverts en France	Nombre de centres ouverts en France	Nombre de patients attendus France	Nombre de patients inclus France	Date théorique de fin des inclusions	Nombre de patients attendus Monde / Europe	Nombre de centres ouvert dans le monde	Etat d'avancement
Hémophilie A	Sévère	Pas de limite d'âge (bras PUPs)	CSL Behring	rFVIII-SingleChain, CSL627	AFFINITY2	Etude en ouvert, multicentrique, de phase III, d'extension pour évaluer la sécurité et l'efficacité d'un facteur VIII recombinant (rFVIII-SingleChain, CSL627) chez des patients hémophiles A sévères	2013-003262-13	NCT02172950	Phase 3	Lille	ND	ND	ND	ND	ND	250 (dont 50 PUPs)	ND	suivi (et inclusion pour PUPs)
Hémophilie A	Sévère	PUPs	BIOERATIV	rFVIIIFc:BIIB031	PUPs Along 997HA306	Etude en ouvert, multicentrique d'évaluation de la sécurité et de l'efficacité d'un facteur VIII recombinant (rFVIIIFc; BIIB031) dans la prévention et le traitement des saignements chez des patients hémophiles A sévères jamais traités	2013-005512-10	ND	Phase 3	ND	ND	Lille	ND	ND	ND	100	ND	Inclusion
Hémophilie A	Sévère	PUPs	BAXALTA SHIRE	BAX855	Prolongate	Etude de phase 3, multicentrique, en ouvert pour évaluer la sécurité, l'immunogénéité et l'efficacité hémostatique du facteur VIII pégylé recombinant (BAX 855) chez des patients jamais traités (PUPs) et des patients peu traités (MTPs) < 6 ans atteints d'une hémophilie A sévère (FVIII<1%)	2015-002136-40	ND	Phase 3	ND	ND	Lille	ND	ND	ND	100	ND	Inclusion
Hémophilie B	Sévère	PUPs	BIOGEN Idec	rFIXFc ; BIIB029; Alprolix; FIX long-Acting par fusion avec le fragment Fc d'une IGG	9HB01EXT B-Yond	Etude en ouvert, multicentrique d'évaluation de l'efficacité et de la sécurité du FIX de coag recombinant long-Acting par fusion avec le fragment Fc d'une IGG dans la prévention et le traitement des saignements chez les hémophiles B préalablement traités	2011-003075-11	NCT01425723	Phase 3b	Marseille	0	1	2	2	2013	ND	ND	Suivi
Hémophilie B	Sévère	≤17 ans	Bioerativ Therapeutics Inc.	rFIXFc ; BIIB029; Alprolix; FIX long-Acting par fusion avec le fragment Fc d'une IGG	PUPs B-LONG 998HB303	Etude en ouvert multicentrique d'évaluation pharmacocinétique de la sécurité l'efficacité du FIX de coag recombinant long-Acting par fusion avec le fragment Fc d'une IGG chez les patients PUPs	2013-003629-27	NCT02234310	Phase 3	Necker	Lyon Marseille Toulouse Rennes Necker Kremlin-Bicêtre	6	ND	ND	ND	54	62	Inclusion
Hémophilie B	Sévère	≤70 ans	CSL Behring	rIX-FP ; FIX rec couplé à l'albumine	CSL654_3003	Etude prospective en ouvert, multicentrique de phase 3b, évaluant la sécurité et l'efficacité du facteur IX (rIX-FP) chez les patients hémophiles B préalablement traités (Adultes et enfants)	2012-005489-37	NCT02053792	Phase 3	Lyon	Brest Kremlin-Bicêtre Marseille Necker Lille	5	14	14	NA	115	>42	Suivi
Hémophilie B	Sévère Modérée Mineure	Pas de limite d'âge	CSL Behring	rIX-FP ; FIX rec couplé à l'albumine	orPHEe	Observatoire des patients présentant une hémophilie B et traité par Idelvion®	NA	ND	Obs.	Brest	Rennes Saint Etienne	ND	ND	ND	ND	ND	ND	ND
Hémophilie B	Sévère	≥1 ans	Octapharma	OCTAFIX	NINE-06 PEKAFIX	Etude des paramètres pharmacocinétiques d'un concentré de Facteur IX de coagulation humain (OCTAFIX®) et construction d'un modèle bayésien	2015-005395-23	ND	Phase 2	Lyon	Angers Caen Clermont-Ferrand Dijon Nancy Eaubonne Saint Etienne (2) Saint Denis Reims	9	20		aout 2017	NA	NA	Suivi
Hémophilie A avec inhibiteur et Hémophilie B avec inhibiteur	Sévère	12-65 ans	CSL Behring	Eptacog alfa (activated); FVII recombinant activé couplé à l'albumine; CSL689	CSL689_2001	Etude multicentrique, en ouvert, en dose multiple, en échelle de dose évaluant la pharmacocinétique l'efficacité et la sécurité du rFVIIa-FP (CSL689) chez les patients hémophilie A (A et B) avec inhibiteur	2012-001309-26	NCT02484638	Phase 2-3	Lyon	Kremlin-Bicêtre Necker	3	ND	ND	ND	54	12	Inclusion

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	Phase/Catégorie	Centre coordinateur	Centres associés ouverts en France	Nombre de centres ouverts en France	Nombre de patients attendus France	Nombre de patients inclus France	Date théorique de fin des inclusions	Nombre de patients attendus Monde / Europe	Nombre de centres ouvert dans le monde	Etat d'avancement
Hémophilie A avec inhibiteur et Hémophilie B avec inhibiteur	Sévère	Pas de limite d'âge	Baxalta	FEIBA NF	FEIBA-GO 091301	Etude de Phase IV post AMM, prospective, non contrôlée, observationnelle, non interventionnelle en ouvert, multicentrique	NA	ND	Post-AMM	Lyon	Kremlin-Bicêtre Rennes Caen Reims Bordeaux	7	ND	ND	ND	100		Inclusion
Hémophilie A avec inhibiteur et Hémophilie B avec inhibiteur	Sévère	12-65 ans	ALNYLAM	FITUSIRAN	ALN-AT3-003	Etude de phase 3, en ouvert, portant sur l'efficacité et la sécurité du fitusiran chez les patients hémophiles sévères A et B avec inhibiteur.	2016-001463-36	ND	Phase 3	Lyon	Clermont Ferrand Rouen	0	ND	ND	ND	60	48	Préparation
Hémophilie A avec inhibiteur	Sévère Modérée Mineure	≥12 ans	Hoffmann-La Roche	Emicizumab; ACE910; ROS534262	HAVEN 1 (BH29884)	Etude de Phase III randomisée, multicentrique, en ouvert Evaluation de la pharmacocinétique, de l'efficacité et de la sécurité du ROS534262 (ACE910) en prophylaxie versus patient sans prophylaxie chez les hémophiles A avec inhibiteur	2015-002866-21	NCT02622321	Phase 3	Lyon	Kremlin-Bicêtre Lille Necker	4	ND	ND	NA	113	46	Suivi
Hémophilie A avec inhibiteur	Sévère Modérée Mineure	<12 ans	Hoffmann-La Roche	Emicizumab; ACE910; ROS534262	HAVEN 2	Etude clinique de phase III, multicentrique à un bras, en ouvert, visant à évaluer l'efficacité, la sécurité à l'emploi et la pharmacocinétique de l'administration sous cutanée une fois par semaine de l'Emicizumab chez des patients pédiatriques atteints d'hémophilie A avec inhibiteurs	2016-000073-21	NCT02795767	Phase 3	ND	Lyon	ND	ND	ND	ND	ND	ND	Suivi
Hémophilie A avec inhibiteur	Sévère	pas de limite d'âge	BIOVERATIV	rFVIIIFc;BII8031	997HA402	Etude non contrôlée, en ouvert, multicentrique de l'efficacité de l'Elctact® pour une induction de Tolérance Immune (ITI) chez des patients hémophiles A sévères avec inhibiteurs réalisant leur première ITI	2017-000373-36	NCT03093480	Phase 4	Lyon	Lille Necker Toulouse	4	ND	1	ND	30	ND	Inclusion
Willebrand	Types 1, 2A, 2B, 2M, 2N et 3	< 18 ans	Baxalta	Facteur VWF recombinant (rVWF) ; BAX 111	71102	Etude de l'efficacité et de la sécurité du rVWF avec ou sans ADVATE dans le traitement et le contrôle des saignements et des chirurgies (programmées ou d'urgence) ainsi que de la pharmacocinétique du rVWF chez les enfants avec une forme sévère de la maladie de Willebrand	2016-001477-33	NA	Phase 3	Caen	Lille Lyon	ND	ND	ND	mars-19	27	ND	Inclusion
Willebrand	Types 1, 2A, 2B, 2M et 3	≥18 ans	Baxalta	Facteur VWF recombinant (rVWF) ; BAX 112	71301	Etude de l'efficacité, de la sécurité (incluant l'immunogénicité et la thrombogénicité) et de la qualité de vie des patients ayant une forme sévère de la maladie de Willebrand et sous prophylaxie de rVWF	2016-001478-14	NCT02973087	Phase 3	Lille	Lille Lyon	ND	ND	ND	juil-05	18	ND	Inclusion
Willebrand	NA	Pas de limite d'âge	CSL Behring	VONCENTO®	OPALE	Observatoire des patients présentant une maladie de willebrand et traités par voncento®	NA	ND	Obs.	Nantes	Lyon Kremlin-Bicêtre Necker	3	ND	ND	Decembre 2016	20	ND	Inclusion

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	Phase/Catégorie	Centre coordinateur	Centres associés ouverts en France	Nombre de centres ouverts en France	Nombre de patients attendus France	Nombre de patients inclus France	Date théorique de fin des inclusions	Nombre de patients attendus Monde / Europe	Nombre de centres ouvert dans le monde	Etat d'avancement
Willebrand	Type 1 VWF:Ag<30 % Type 2 Type 3	sans limite d'âge	LFB	Wilfactin/Wilstart	WISH-Qol	Etude de la qualité de vie et de l'impact médico-économique de la maladie de Willebrand en France	NA	ND	Phase 4	Caen	Anney Bicêtre Bordeaux Brest Caen Chambery Clermont Ferrand Dijon Lariboisiere Le Chesnay Lille Limoges Marseille Montmorency Nantes Necker Nîmes Poitiers Reims Rennes Rouen Strasbourg St Etienne Tours	25	350	282	2018	350	ND	Inclusion