

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	CRO	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 ouverts dans le monde	Etat d'avancement	Commentaires
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	non	Phase 3	Necker	Lyon Nantes Kremlin-Bicêtre	4	ND	ND	NA	186	93	Suivi	2 patients à Lyon 1 au kremlin bicetre 3 screens failure à Necker
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	non	Phase 3	Nantes	Lyon	2	ND	ND		43	30	Inclusion	2 patients à Lyon 1 au kremlin bicetre
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	non	Phase 3	Toulouse	Lyon Lille Necker	3	ND	ND	NA	68	51	Suivi	6 patients à Lyon 1 patient à Lille
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	non	Phase 1	Nantes	Lyon	2	ND	ND	NA	21	14	Suivi	1 patient à Lyon
Hémophilie A	Sévère	≥12 ans	Hoffmann-La Roche	Emicizumab; ACE910; ROSS34262	HAVEN 3 (BH30071)	Etude de phase III, randomisée, multicentrique, en ouvert évaluant l'efficacité, la sécurité et la pharmacocinétique du traitement en prophylaxie par ROSS34262 versus un traitement à la demande chez les patients Hémophiles A sans inhibiteur	2016-000072-17	NCT02847637	IQVIA	Phase 3	Lyon	Kremlin-Bicêtre Necker	3	ND	ND	NA	145	44	Suivi	4 patients à Lyon 2 patients à Necker 3 patients au kremlin bicêtre
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'immunogénéité et de la sécurité et de la pharmacocinétique et de la sécurité de du facteur VIII humain "Human-cl rhFVIII"	2012-002554-23	NCT01712438	non	Phase 3	Rennes	Nantes Paris Necker Kremlin Bicêtre Caen Marseille Tours	7	ND	4	oct-16	110	37	Suivi	3 patients inclus à marseille 2 patients au kremlin bicetre 1 patient à Necker
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	non	Phase 3	Nantes	Lyon Clermont-Ferrand Necker Poitiers Rennes Toulouse Kremlin Bicetre	7	ND	ND	ND	55	30	Inclusion	1 patient à Lyon 2 patients à Clermont
Hémophilie A		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'immunogénéité, 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	non	Obs.	Necker	Rennes St Etienne Rouen Toulouse Nantes Caen	ND	ND	ND	ND	ND	ND	ND	En attente de MEP
Hémophilie A	Sévère Modérée	≥ 5 ans	ROCHE	NA	HEMONIS	Prise en charge thérapeutique des patients adultes et enfants atteints d'hémophilie A	NA	ND	AXONAL BIOSTATEM	Obs.	ND	Rennes	ND	ND	ND	ND	ND	ND	Inclusion	98 patients au Kremlin Bicetre
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	IncResearch	Phase 3	Lille	ND	ND	ND	ND	ND	250 (dont 50 PUPS)	ND	suivi (et inclusion pour PUPS)	2 patients à Lille 1 patient à Necker 2 patients kremlin-bicetre (1 sortie avant la fin de l'étude)

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	CRO	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 ouverts dans le monde	Etat d'avancement	Commentaires
Hémophilie A	Sévère	PUPs	BIOVERATIV	rFVIIIc; BII8031	PUPs Along 997HA306	Etude en ouvert, multicentrique d'évaluation de la sécurité et de l'efficacité d'un facteur VIII recombinant (rFVIIIc; BII8031) dans la prévention et le traitement des saignements chez des patients hémophiles A sévères jamais traités	2013-005512-10	ND	IQVIA	Phase 3	ND	ND	Lille	ND	ND	ND	100	ND	Inclusion	1 patient à Lille
Hémophilie A	Sévère	PUPs	BAXALTA SHIRE	BAX855	Prolongate	Etude de phase 3, multicentrique, en ouvert pour évaluer la sécurité, l'immunogénéicité 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 atteint d'une hémophilie A sévère (FVIII<1%)	2015-002136-40	ND	IQVIA	Phase 3	ND	ND	Lille	ND	ND	ND	100	ND	Inclusion	1 patient à Lille 1 patient à Necker
Hémophilie B	Sévère	PUPS	BIOGEN Idc	rFIXFc; BII8029; 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	IQVIA	Phase 3b	Marseille	0	1	2	2	2013	ND	ND	Suivi	2 patients inclus à Marseille.
Hémophilie B	Sévère	≤17 ans	Bioerativ Therapeutics Inc.	rFIXFc; BII8029; Alprolix; FIX long-Acting par fusion avec le fragment Fc d'une IGG	PUPs B-LONG 998HB303	Eude 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 PUP's	2013-003629-27	NCT02234310	IQVIA	Phase 3	Necker	Lyon Marseille Toulouse Rennes Necker Kremlin-Bicêtre	6	ND	ND	ND	54	62	Inclusion	1 patient à Lyon
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	INC Research	Phase 3	Lyon	Brest Kremlin-Bicêtre Marseille Necker Lille	5	14	14	NA	115	>42	Suivi	3 patients à Lyon 3 patients inclus à Marseille 1 patient à Necker 3 patients Kremlin Bicetre
Hémophilie B	Sévère Modérée Mineure	Pas de limite d'âge	CSL Behring	rIX-FP; FIX rec couplé à l'albumine	orPHEe	Observatoire de patients présentant une hémophilie B et traité par Idelvion®	NA	ND	NUCLEUS	Obs.	Brest	Rennes Saint Etienne	ND	ND	ND	ND	ND	ND	ND	En attente de MEP
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	CRTH Lyon	Phase 2	Lyon	Angers Caen Clermont-Ferrand Dijon Nancy Eaubonne Saint Etienne (2) Saint Denis	9	20		aout 2017	NA	NA	Suivi	2 patients à Lyon
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 hemophilia (A et B) avec inhibiteur	2012-001309-26	NCT02484638	INC Research	Phase 2-3	Lyon	Kremlin-Bicêtre Necker	3	ND	ND	ND	54	12	Inclusion	1 patient inclus à Necker (sorti avant arrêt de l'étude)
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	Syntheract HCR	Post-AMM	Lyon	Kremlin-Bicêtre Rennes Caen Reims Bordeaux	7	ND	ND	ND	100		Inclusion	0 patient à Lyon 0 patient au kremlin bicetre
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	PPD	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; ROSS34262	HAVEN 1 (BH29884)	Etude de Phase III randomisée, multicentrique, en ouvert Evaluation de la pharmacocinétique, de l'efficacité et de la sécurité du ROSS34262 (ACE910) en prophylaxie versus patient sans prophylaxie chez les hémophiles A avec inhibiteur	2015-002866-21	NCT02622321	IQVIA	Phase 3	Lyon	Kremlin-Bicêtre Lille Necker	4	ND	ND	NA	113	46	Suivi	2 patients à Lyon 1 patient à Lille 3 patients à Necker 1 patient au kremlin bicetre

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	CRO	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 ouverts dans le monde	Etat d'avancement	Commentaires
Hémophilie A avec inhibiteur	Sévère Modérée Mineure	<12 ans	Hoffmann-La Roche	Emicizumab; ACE910; ROSS34262	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	IQVIA	Phase 3	ND	Lyon	ND	ND	ND	ND	ND	ND	Suivi	1 patient à Lyon
Hémophilie A avec inhibiteur	Sévère	pas de limite d'âge	BIOVERATIV	rFVIII-Fc; BII8031	997HA402	Etude non contrôlée, en ouvert, multicentrique de l'efficacité de l'Elocta® pour une induction de Tolérance Immune (TI) chez des patients hémophiles A sévères avec inhibiteurs réalisant leur première TI	2017-000373-36	NCT03093480	IQVIA	Phase 4	Lyon	Lille Necker Toulouse	4	ND	1	ND	30	ND	Inclusion	1 patient à Toulouse
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	IQVIA	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	IQVIA	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	Cenbiotech	Obs.	Nantes	Lyon Kremlin-Bicêtre Necker	3	ND	ND	Decembre 2016	20	ND	Inclusion	10 patients à Necker 4 patients au kremlin-Bicetre 3 patients à Lyon
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	CLINACT	Phase 4	Caen	Anney Bicêtre Bordeaux Brest Caen Chambery Clermont Ferrand Dijon Larboisiere Le Chesnay Lille Limoges Marseille Montmirency Nantes Necker Nimes Poitiers Reims Rennes Rouen Seabourg St Etienne Tours	25	350	282	2018	350	ND	Inclusion	22 Patients inclus à Marseille 2 patients inclus à Clermont Ferrand 6 patients à Necker 4 patients au kremlin Bicêtre