



# SDM

OUTIL DE PRISE DE DÉCISION  
PARTAGÉE DE LA FMH



## RÉFÉRENCES

### ARTICLES DE FOND

Krumb E, Hermans C. [Living with a "Hemophilia-Free Mind" - The New Ambition of Hemophilia Care?](#) *Res Pract Thrombosis Haemostasis*. 2021;5(5):e12567.

Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, et al. [WFH Guidelines for the Management of Hemophilia](#), 3<sup>e</sup> édition. *Haemophilia*. 2020;26(Suppl 6):1-158.

Weyand AC, Pipe SW. [New Therapies for Hemophilia](#). *Blood*. 2019;133(5):389-398.

### TRAITEMENTS SUBSTITUTIFS

#### Produits à demi-vie standard approuvés pour l'hémophilie A

ADVATE	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>
Kogenate FS	<a href="#">FDA</a>		
KOVALTRY	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	
Novoeight	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	
NUWIQ	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>
XYNTHA/ReFacto AF	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>

#### Produits à demi-vie prolongée approuvés pour l'hémophilie A

ADYNOVATE/ADYNOVI	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>
ELOCTATE/Elocta	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>
ESPEROCT	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>
JIVI	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>

#### Produits à demi-vie ultralongue approuvés pour l'hémophilie A

ALTUVIIIIO	<a href="#">FDA</a>		
------------	---------------------	--	--

#### Produits à demi-vie standard approuvés pour l'hémophilie B

BeneFIX	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>
IXINITY	<a href="#">FDA</a>		
RIXUBIS	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>

#### Produits à demi-vie prolongée approuvés pour l'hémophilie B

ALPROLIX	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>
IDELVION	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>
REBINYN/Refixia	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Santé Canada</a>

## TRAITEMENT PAR ANTICORPS BISPÉCIFIQUE

### Produits approuvés

HEMLIBRA (emicizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Santé Canada](#)

### Essai en phase 3

Étude en phase 3 en cours pour Mim8 : NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238 et NCT05878938.

## TRAITEMENT PAR AGENTS DE RÉÉQUILIBRAGE DE L'HÉMOSTASE

### Produits approuvés

ALHEMO (concizumab)

[Santé Canada](#)

Matsushita, T. et al. [Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors](#). N. Engl. J. Med. 389, 783-794 (2023).

### Essais en phase 3

Young G, Srivastava A, Kavakli K, et al. [Efficacy and Safety of Fitusiran Prophylaxis in People with Haemophilia A or Haemophilia B with Inhibitors \(ATLAS-INH\): A Multicentre, Open-Label, Randomised Phase 3 Trial](#). *Lancet*. 2023;401:1427-1437.

Srivastava A, Rangarajan S, Kavakli K, et al. [Fitusiran Prophylaxis in People with Severe Haemophilia A or Haemophilia B Without Inhibitors \(ATLAS-A/B\): A Multicentre, Open-Label, Randomised, Phase 3 Trial](#). *Lancet Haematol*. 2023;10(5):e322-e332.

Pfizer. [Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial](#). 30 mai 2023.

## ARTICLES SUR LA THÉRAPIE GÉNIQUE

Konkle BA, Coffin D, Pierce GF, et al. [World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry](#). *Haemophilia*. 2020;26(4):563-564.

Miesbach W, Klamroth R. [The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients](#). *Patient Prefer Adherence*. 2020;14:767-770.

Pierce GF, Iorio A. [Past, Present and Future of Haemophilia Gene Therapy: From Vectors and Transgenes to Known and Unknown Outcomes](#). *Haemophilia*. 2018;24(Suppl 6):60-67.

Wang M, Negrier C, Driessler F, et al. [The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making. Patient Prefer Adherence.](#) 2022;16:1439-1447.

## THÉRAPIE GÉNIQUE POUR L'HÉMOPHILIE A

### Produits approuvés

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

### Principaux essais cliniques

Mahlangu J, Kaczmarek R, von Drygalski A, et al. [Two-Year Outcomes of Valoctocogene Roxaparvovec Therapy for Hemophilia A.](#) *N Engl J Med.* 2023;388(8):694-705.

Ozelo MC, Mahlangu J, Pasi KJ, et al. [Valoctocogene Roxaparvovec Gene Therapy for Hemophilia A.](#) *N Engl J Med.* 2022;386(11):1013-1025.

## THÉRAPIE GÉNIQUE POUR L'HÉMOPHILIE B

### Produits approuvés

HEMGENIX

[FDA](#)

[EMA](#)

[Santé Canada](#)

BEQVEZ

[Santé Canada](#)

### Principaux essais cliniques

Pipe SW, Leebeek FWG, Recht M, et al. [Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvovec for Hemophilia B.](#) *N Engl J Med.* 2023;388(8):706-718.

Dernière mise à jour : mars 2024

Il s'agit d'un document évolutif qui sera mis à jour deux fois par an. Les dates limites sont fixées au 30 juin et au 31 décembre, les mises à jour ayant lieu le(s) mois suivant(s). Toute nouvelle information recueillie après ces dates limites sera incluse dans la mise à jour suivante.