

Études cliniques

Vous trouverez dans cette rubrique les essais cliniques sur les maladies rares du foie en cours d'activation, actuellement en cours ou récemment clôturés dans les centres de la filière.

Maladie(s) Concernée(s)	Intitulé	Investigateur principal - France	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
Atrésie des voies biliaires	Devenir des enfants atteints d'atrésie des voies biliaires survivant à l'âge adulte avec leur foie natif	Dr Odile GORIA CHU Rouen	Étude terminée
	BOLD - Efficacité et sécurité de l'Odevixibat chez les enfants atteints d'atrésie biliaire ayant subi une intervention de Kasai : Étude de phase 3 à double aveugle, randomisée, contrôlée contre placebo, visant à étudier l'efficacité et la sécurité de l'odevixibat par rapport au placebo chez les enfants atteints d'AVB qui ont subi une intervention de Kasai	Pr Emmanuel GONZALES Hôpital Kremlin Bicêtre	Recrutement terminé, étude en cours NCT04336722 Laboratoire Albireo
	Agénésies anténatales de la vésicule biliaire : description et devenir de la population des enfants AVB ou avec une agénésie "isolée"	Dr Madeleine AUMAR CHU de Lille	Ouverture premier semestre 2024
Cholangite Biliaire Primitive	ASSURE : An Open Label Long-Term Study to Evaluate the Safety and Tolerability of Seladelpar in Subjects with Primary Biliary Cholangitis (PBC)	Dr Christophe CORPECHOT Hôpital Saint-Antoine, Paris	Recrutement terminé, suivi en cours NCT03301506 CymaBay Therapeutics
	CBP-HOPE : Étude contrôlée randomisée de l'efficacité d'une intervention psychoéducatrice et d'une intervention d'hypnose sur la fatigue de femmes ayant une cholangite biliaire primitive		Étude en cours d'analyse Universités René Descartes et Sorbonne, AP-HP, Hôpital Saint-Antoine NCT03630718
	ELATIVE (GENFIT - GFT505) : Étude de Phase III, randomisée, en double aveugle versus placebo, évaluant la sécurité, la tolérance et l'efficacité d' Elafibranor 80 mg chez les patients atteints de CBP ayant une réponse inadéquate ou bien une intolérance à l'acide ursodésoxycholique		Recrutement terminé, étude en cours AP-HP, Hôpital Saint-Antoine NCT04526665 GENFIT

Maladie(s) Concernée(s)	Intitulé	Investigateur principal - France	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
Cholangite Biliaire Primitive	GLISTEN (GSK-212620) : Étude de phase III, randomisée, multicentrique, en double aveugle et contrôlée par placebo, pour évaluer l'efficacité et la tolérance du Linerixibat dans le traitement du prurit cholestatique chez les patients atteints de CBP	Dr Christophe CORPECHOT Hôpital Saint-Antoine, Paris	Recrutement en cours NCT04950127 GlaxoSmithKline
	INTERCEPT 747-213 : Étude de Phase II, randomisée, en double aveugle versus placebo, évaluant la sécurité, la tolérance de l'Acide Obé-ticholique administré en association avec le Bezafibrate chez les patients atteints de CBP ayant une réponse inadéquate ou bien une intolérance à l'acide ursodésoxycholique		Recrutement terminé, suivi en cours NCT04594694 Intercept Pharmaceuticals
	NUT-2 : Étude de Phase II, rando-misée, en double aveugle versus placebo, pour comparer les diffé-rentes doses de l'acide norucho-lique dans le traitement de la CBP chez les patients ayant une réponse inadéquate ou bien une intolérance à l'acide ursodésoxy-cholelique.		Recrutement en cours Dr FALK PHARMA EudraCT N° 2021-001431-56
	RESPONSE : Étude de phase 3 ran-domisée, en double aveugle versus placebo, évaluant la sécurité, la tolé-rance de Seladelpar chez les patients atteints de CBP ayant une réponse inadéquate ou bien une intolérance à l'acide ursodésoxycholique		Recrutement terminé, suivi en cours NCT04620733 AP-HP, Hôpital Saint-Antoine CymaBay Therapeutics
	TRANSFORM : Étude de phase IIb/III adaptative, randomisée, en double aveugle versus placebo sur 52 semaines, pour évaluer l'efficacité et la tolérance du Setanaxib chez les patients ayant une CBP et un résultat de fibroscan supérieur 8,8 kPa		Recrutement en cours NCT05014672 Calliditas Therapeutics
	VANTAGE VLX 601 : Étude de Phase III, randomisée, en double aveugle versus placebo, évaluant l'efficacité de Volixibat dans le traite-ment du prurit cholestatique chez les patients atteints de CBP		Centre en cours d'activation NCT05050136 Mirum Pharmaceuticals

Études cliniques

Maladie(s) Concernée(s)	Intitulé	Investigateur principal - France	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
Cholangite Sclérosante Primitive	BEZASCLER : Essai de phase 3 multicentrique, randomisé et contrôlé en double aveugle comparant le bezafibrate à un placebo durant 24 mois dans le traitement de la cholangite sclérosante primitive, gardant une cholestase sous acide ursodesoxycholique	Pr Olivier CHAZOUILLÈRES Hôpital Saint-Antoine, Paris	Recrutement en cours NCT04309773 PHRC national
	FICUS : Étude prospective de la valeur pronostique de l'élastométrie impulsionnelle (Fibroscan) chez les patients atteints de la CSP		Suivi en cours Fonds CSP
	Nor-Ursodésoxycholique NUC-5/PSC : Étude de phase III randomisée, contre placebo, en double aveugle comparant l'acide nor-ursodésoxycholique au placebo dans le traitement de la CSP		Recrutement terminé, étude en cours NCT03872921 Dr FALK PHARMA
	PACIFIC : Étude randomisée, en double aveugle et contrôlée contre placebo visant à évaluer les effets de l'EP547 chez des patients atteints de prurit cholestatique causé par une cholangite biliaire primitive ou une cholangite sclérosante primitive		Recrutement en cours NCT05525520 Escient Pharmaceuticals
	PLIANT : Étude randomisée de phase IIa, de détermination de la dose, en double aveugle, contrôlée par placebo, évaluant la sécurité, la tolérance et la pharmacocinétique de PLN-74809 chez les participants présentant une CSP et une fibrose hépatique suspectée		Recrutement en cours NCT04480840 Pliant Therapeutics, Inc.
	PRIMIS : Étude de phase III, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo évaluant la sécurité d'emploi, la tolérance et l'efficacité du GS-9674 (Cilofexor) chez des patients non cirrhotiques atteints de CSP		Étude clôturée en août 2023 (étude arrêtée prématurément pour futilité en décembre 2022) NCT03890120 Gilead Sciences

Maladie(s) Concernée(s)	Intitulé	Investigateur principal - France	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
Cholangite Sclérosante Primitive	VISTAS (Volixibat VLX-301) : Étude randomisée, en double aveugle et contrôlée contre placebo visant à évaluer les effets du Volixibat chez des patients atteints de prurit cholestatique causé par une cholangite sclérosante primitive	Pr Olivier CHAZOUILLÈRES Hôpital Saint-Antoine, Paris	Centre en cours d'activation NCT04663308 Mirum
	Safety and Tolerability of A3907 in Primary Sclerosing Cholangitis : Étude de phase 2a, non randomisée (en ouvert) pour évaluer la sécurité, la tolérabilité, la pharmacocinétique et la pharmacodynamique du A3907 (inhibiteur ASBT) chez les patients adultes ayant une cholangite sclérosante primitive		Recrutement en cours NCT05642468 Laboratoire Albireo
Cholestase intra- hépatique progressive familiale	Long Term Safety & Efficacy Study Evaluating The Effect of A4250 in Children With PFIC : Étude de prolongation ouverte de phase III pour évaluer l'innocuité à long terme et la persistance de l'effet de l'A4250 chez les enfants atteints de PFIC	Pr Emmanuel GONZALES Hôpital Kremlin Bicêtre	Recrutement terminé, étude en cours NCT03659916 Laboratoire Albireo
	MRX-502 : Étude de phase III, randomisée, en double aveugle, contrôlée par placebo visant à évaluer l'efficacité et l'innocuité du maralixibat dans le traitement de sujets atteints de cholestase intra-hépatique progressive familiale (PFIC)		Étude terminée NCT03905330 Laboratoire Mirum Pharmaceutical, Inc.
	PEDFIC 2 : Étude étendue, de phase III, en double aveugle, randomisée, contrôlée par placebo, visant à étudier l'efficacité et la sécurité de l'A4250 par rapport au placebo chez les enfants atteints de PFIC 1 et 2	Pr Alain LACHAUX Hôpital Femme Mère Enfant, Lyon	Recrutement terminé, étude en cours NCT03659916 Laboratoire Albireo (Accès précoce octroyé 06/04/2023)
	RISE - Étude pour évaluer la sécurité et la tolérance du Maralixibat chez les enfants atteints du Syndrome d'Alagille ou de PFIC : Cette étude vise à déterminer si le médicament expérimental maralixibat est sans danger et bien toléré chez les enfants mineurs de 12 mois atteints du Syndrome d'Alagille ou de PFIC	Pr Emmanuel GONZALES Hôpital Kremlin Bicêtre	Recrutement en cours NCT04729751 Mirum Pharmaceuticals, Inc. (Accès précoce octroyé 23/02/2023)

Études cliniques

Maladie(s) Concernée(s)	Intitulé	Investigateur principal - France	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
Cholestase prolongée avant l'âge de 1 an	SMILE - Dyschromie dentaire et hyperbilirubinémie prolongée : étude épidémiologique de la dyschromie dentaire en cas de cholestase prolongée avant l'âge de 1 an : données cliniques, traitements et qualité de vie	Dr Nolwenn LABORDE CHU Toulouse	Ouverture en fin 2023 - Laboratoire Albireo
Hépatite Auto- Immune	Pro-SURFASA : Validation d'un score pronostique de la réponse au traitement par les stéroïdes dans l'hépatite auto-immune aiguë sévère	Dr Eleonora DE MARTIN Hôpital Paul Brousse, Villejuif	Étude en cours d'activation NCT05473403 PHRC national
Hypertension portale intra- hépatique non cirrhotique	APIS : Étude des effets de l'administration de l'anticoagulant Apixaban chez des patients avec une hypertension portale intra-hépatique non cirrhotique	Pr Pierre Emmanuel RAUTOU Hôpital Beaujon, Paris	Recrutement en cours NCT04007289 PHRC national
Insuffisance hépatique aiguë (IHA)	INFHANTI : Plateforme nationale multidisciplinaire (FILFOIE-G2M) d'aide au diagnostic et à la prise en charge des insuffisances hépatiques des enfants de moins de 2 ans, avec pour objectif de réduire les impasses diagnostiques dans les insuffisances hépatiques néonatales et du nourrisson <2 ans, en mobilisant les experts clinicobiologiques et la biobanque de la plateforme	Dr Nolwenn LABORDE Dr Pierre BROUÉ CHU Toulouse	Ouverture en fin 2023 - AAP FILFOIE 2020
Maladies auto- immunes et inflammatoires (CSP, HAI, Crohn, RCH + pathologies auto- immunes et inflammatoires auto- immunes)	TRANSREG : Induction des lymphocytes T-régulateurs par IL-2 à très faible dose dans les pathologies auto-immunes et inflammatoires	Pr Olivier CHAZOUILLÈRES Hôpital Saint-Antoine, Paris	Étude terminée NCT01988506 PHRC
Maladies chroniques du foie	Protocole M134 : Étude observationnelle comparative de la performance diagnostique du CAP première génération et du CAP seconde génération chez des patients présentant une hépatopathie chronique, toutes étiologies confondues, en utilisant l'IRM-PDFF comme référence	Pr Olivier CHAZOUILLÈRES Hôpital Saint-Antoine, Paris	Étude terminée NCT03704792 Echosens

Maladie(s) Concernée(s)	Intitulé	Investigateur principal - France	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
Maladies Vasculaires du foie	MVF et PMA : Maladie Vasculaire du Foie et Procréation Médicalement Assistée (PMA)	Dr Audrey PAYANCÉ Hôpital Beaujon, Paris	Inclusions rétrospectives en cours
Maladie Vasculaire Porto-Sinusoïdale	TRANSVAS : Étude cas-témoins sur les facteurs de risque de Maladie Vasculaire Porto-Sinusoïdale chez les transplantés rénaux	Dr Isabelle OLLIVIER-HOURMAND CHU de Caen	Étude terminée
	MVPS et sclérodémie : étude multicentrique rétrospective comparant des patients adultes atteints de sclérodémie associée à une MVPS, à des patients adultes ayant une MVPS sans sclérodémie systémique		Étude en cours
Thrombose Veineuse Portale / Cavernome	LOCAPORT : Étude des facteurs de risque de récurrence de thrombose ou d'extension thrombotique, en cas de thrombose veineuse portale aiguë non cirrhotique secondaire à une cause locale	Dr Isabelle OLLIVIER-HOURMAND CHU de Caen	Étude terminée
	Évolution après chirurgie abdominale chez les patients atteints de cavernome porte	Pr Laure ELKRIEF CHRU de Tours	Étude terminée
	Évolution des facteurs de risque de thrombose porte aiguë sans cirrhose, en particulier rôle du syndrome métabolique et de la graisse viscérale	Dr Odile GORIA CHU Rouen	Étude terminée



Pour retrouver plus de détails sur l'ensemble des études cliniques, rendez-vous sur la page dédiée du site internet de la filière : <https://www.filfoie.com/recherche/recherche-clinique/essais-cliniques/>