

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	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
Cholangite Biliaire Primitive	BEZURSO 2 : Étude de Phase 3, contrôlée randomisée en double insu évaluant Efficacité et sécurité d'un traitement complémentaire par bézafibrate 400 mg et bézafibrate 200 mg chez des patients ayant une cholangite biliaire primitive avec réponse biologique non optimale à l'acide ursodésy- cholique	Dr Christophe CORPECHOT Hôpital Saint- Antoine Paris	Recrutement en cours, NCT06443606 PHRC national
	ASSURE: An Open Label Long-Term Study to Evaluate the Safety and Tolerability of Seladelpar in Subjects with Primary Biliary Cholangitis (PBC)		Recrutement terminé, suivi en cours NCT03301506 CymaBay Therapeutics
	ELATIVE (GENFIT - GFT505) : Étude de Phase 3, randomisée, en double aveugle versus placebo, évaluant la sécurité, la tolérance et l'efficacité de Elafibranor 80 mg chez les patients atteints de CBP ayant une réponse inadéquate ou bien une intolérance à l'acide ursodésy- cholique		Recrutement terminé, étude en cours AP-HP, Hôpital Saint-Antoine NCT04526665 GENFIT,IPSEN
	Intercept 747-213 : Étude de Phase 2, randomisée, en double aveugle versus placebo, évaluant la sécurité, la tolérance de Obeticholic Acid administré en association avec le Bezafibrate chez les patients atteints de Cholangite biliaire primitive (CBP) ayant une réponse inadéquate ou bien une intolérance à l'acide ursodésy- cholique (AUDC)		Recrutement terminé, étude en cours NCT04594694 Intercept Pharmaceuticals

Maladie(s) Concernée(s)	Intitulé	Investigateur principal - France	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
Cholangite Biliaire Primitive	Intercept 977-311 : Étude d'extension de phase 3 en ouvert évaluant à long terme la sécurité et la tolérance une dose fixe combinant l'acide Obeticholic et le bezafibrate chez les patients atteints d'une cholangite biliaire primitive (CBP) ayant participé à l'étude Intercept 747-213	Dr Christophe CORPECHOT Hôpital Saint-Antoine, Paris	Étude en cours d'activation, NCT06488911 Intercept Pharmaceuticals
	VANTAGE VLX 601 : Étude de Phase III, randomisée, en double aveugle versus placebo, évaluant l'efficacité de Volixibat dans le traitement du prurit cholestatique chez les patients atteints de CBP		Étude en cours NCT05050136 Mirum Pharmaceuticals
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 terminé, suivi en cours, NCT04309773 PHRC national
	NUT 022 : Étude de phase 3 en ouvert multicentriques chez les patients atteints de cholangite sclérosante primitive ayant participé à l'étude NUC 5 PSC		Recrutement terminé, étude en cours NCT03872921 Dr FalkPharma
	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		Centre en cours d'activation NCT04663308 Mirum
	FMT SCLER : Étude de phase 2, randomisée en double aveugle, multicentrique pour évaluer l'efficacité d'une transplantation du microbiote fécal, contrôlée versus transplantation sham chez les patients atteints de cholangite sclérosante primitive associée à une MICI	Dr Sara LEMOINNE Hôpital Saint-Antoine, Paris	Étude en attente d'activation, PHRC national

Maladie(s) Concernée(s)	Intitulé	Investigateur principal – France	Statut, N° clinicaltrials.gov et/ou financement
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-802-EXPAND : Randomized Double-Blind Placebo-Controlled Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Maralixibat in the Treatment of Participants with Cholestatic Pruritus.		Étude en cours NCT06553768 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 Mère Femme Enfant, Lyon	Recrutement terminé, étude en cours NCT03659916 Laboratoire Albireo (Accès précoce octroyé 06/04/2023)
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 attente 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 terminé, étude en cours NCT04007289 PHRC national