

HEMONIS - Prise en charge thérapeutique des patients adultes ou enfants atteints d'hémophilie A : étude observationnelle rétrospective - étude HEMONIS

Responsable(s) :Roche Medical data center

Date de modification : 07/07/2025 | Version : 1 | ID : 74089

Général	
Identification	
Nom détaillé	Prise en charge thérapeutique des patients adultes ou enfants atteints d'hémophilie A : étude observationnelle rétrospective - étude HEMONIS
Sigle ou acronyme	HEMONIS
Numéro d'enregistrement (ID-RCB ou EUDRACT, CNIL, CPP, etc.)	ML39418
Thématiques générales	
Domaine médical	Hématologie
Etude en lien avec la Covid-19	Non
Pathologie, précisions	Hémophilie A
Déterminants de santé	Produits de santé
Mots-clés	emicizumab
Responsable(s) scientifique(s)	
Nom du responsable	Roche Medical data center
Adresse	4 cours de l'Ile Seguin - 92100 Boulogne-Billancourt
Email	data_sharing.france@roche.com
Organisme	Roche SAS
Collaborations	
Participation à des projets, des réseaux, des consortiums	Non
Financements	
Financements	Privé

Gouvernance de la base de données

Organisation(s) responsable(s) ou promoteur Roche SAS

Statut de l'organisation Secteur Privé

Existence de comités scientifique ou de pilotage Oui

Contact(s) supplémentaire(s)

Caractéristiques

Type de base de données

Type de base de données Bases de données issues d'enquêtes

Base de données issues d'enquêtes, précisions Etudes de cohortes

Origine du recrutement des participants Via une sélection de professionnels d'exercice libéral

Critère de sélection des participants Prise de produit(s) de santé

Le recrutement dans la base de données s'effectue dans le cadre d'une étude interventionnelle Non

Objectif de la base de données

Objectif principal

Objectif principal :
Décrire le schéma thérapeutique actuel des patients atteints d'hémophilie A (HA) modérée ou sévère dans la population de patients souffrant de la maladie modérée ou sévère (MS) (induction de tolérance immune (ITI), traitement à la demande, prophylaxie à court terme, prophylaxie à long terme).

Objectifs secondaires :

- Décrire le schéma thérapeutique actuel (ITI, traitement à la demande, prophylaxie à court terme, prophylaxie à long terme) chez les patients atteints d'hémophilie A sévère dans la population de patients souffrant de la maladie sévère (Sev).

Dans les populations modérée ou sévère (MS) et sévère (Sev) :

- Décrire le profil des patients atteints d'hémophilie

A.

- Décrire le type de traitement en fonction du schéma thérapeutique, du statut des inhibiteurs et de la sévérité de la maladie.
- Décrire l'état de santé des patients en fonction des conditions médicales et des caractéristiques de la maladie (sévérité, présence d'inhibiteurs).
- Décrire les complications musculo-squelettiques des patients.

Dans la population sévère (Sev) :

- Décrire les antécédents médicaux et les pathologies associées.
- Décrire les événements thrombotiques.
- Décrire la prise en charge thérapeutique des patients atteints d'hémophilie A sévère depuis le 1er janvier 2000 jusqu'à la dernière visite (les schémas thérapeutiques des deux années précédant la date d'index, les schémas thérapeutiques administrés entre le 1er janvier 2000 et les deux années précédant la dernière visite).
- Décrire le traitement par induction de tolérance immune (ITI) prescrit depuis le diagnostic initial.
- Décrire les événements significatifs (épisodes hémorragiques) ou les restrictions d'activités physiques ainsi que leur prise en charge au cours des deux années précédant la dernière visite.
- Décrire toutes les interventions chirurgicales réalisées au cours des deux années précédant la dernière visite.

Objectifs exploratoires :

- Identifier les facteurs associés au choix du schéma thérapeutique (traitement à la demande versus prophylaxie) dans la population sévère (Sev) selon le statut des inhibiteurs lors de la dernière visite : "jamais développé d'inhibiteur" ou "inhibiteur toléré".
- Identifier les facteurs associés au choix du schéma thérapeutique (prophylaxie versus traitement à la demande, ITI versus traitement à la demande) dans la population sévère (Sev) avec un "inhibiteur actif" lors de la dernière visite.

Identifier les facteurs influençant le choix du recours à l'induction de tolérance immune (pas d'ITI versus ITI) dans la population sévère (Sev) parmi les patients ayant des inhibiteurs.

Critères d'inclusion

Critères d'inclusion :

- o Patient âgé de $\geq$ 5 ans
- o Patient souffrant d'une maladie constitutionnelle modérée ou sévère
- o Patient dont la dernière visite remonte à moins de 2 ans
- o Patient suivi dans le même centre pendant les 2

années précédant la dernière visite, ou patient suivi dans le même centre depuis le diagnostic initial, la durée la plus courte étant retenue, telle que collectée dans l'eCRF.

Critères de non-inclusion :

o Patient ayant reçu une information écrite et exprimé son refus de participer à l'étude, ou patient mineur pour lequel au moins un parent ou tuteur a exprimé un refus de participer à l'étude, comme vérifié par la programmation (patients sans date d'information).

o Patient inclus dans un essai clinique à la date de la dernière visite telle que collectée dans l'eCRF

Type de population

Age

Enfance (6 à 13 ans)
Adolescence (13 à 18 ans)
Adulte (19 à 24 ans)
Adulte (25 à 44 ans)
Adulte (45 à 64 ans)
Personnes âgées (65 à 79 ans)
Grand âge (80 ans et plus)

Population concernée

Sujets malades

Pathologie

D66 - Carence héréditaire en facteur VIII

Sexe

Masculin
Féminin

Champ géographique

National

Collecte

Dates

Année du premier recueil

2016

Année du dernier recueil

2018

Taille de la base de données

Taille de la base de données (en nombre d'individus)

< 500 individus

Détail du nombre d'individus

430

Données

Activité de la base

Collecte des données terminée

Type de données recueillies	Données cliniques Données déclaratives
Données cliniques, précisions	Examen médical
Détail des données cliniques recueillies	Type de données collectées : vérification des critères de sélection avant l'inclusion, caractéristiques de l'hémophilie A, démographie, antécédents d'hémophilie A, conditions médicales, régime thérapeutique de l'hémophilie A modérée et sévère à la date de la dernière visite, complications musculo-squelettiques, antécédents médicaux et conditions connexes à la dernière visite, régimes thérapeutiques de l'hémophilie A au cours des 2 années précédant la dernière visite, régime thérapeutique de l'hémophilie A entre le 1er janvier 2000 et les 2 années précédant la dernière visite, ITI depuis le diagnostic initial, événements (saignements) ou empêchement d'activités physiques survenus au cours des 2 années précédant la dernière visite, toutes les chirurgies survenues au cours des 2 années précédant la dernière visite.
Données déclaratives, précisions	Auto-questionnaire internet
Existence d'une bibliothèque	Non
Modalités	
Mode de recueil des données	eCRF
Nomenclatures employées	similaire à CDISC
Procédures qualité utilisées	Bonnes pratiques cliniques/Bonnes Pratiques de Pharmacovigilance (GCP/GVP)
Suivi des participants	Oui
Modalités de suivi des participants	Suivi par contact avec le médecin référent ? traitant
Pathologie suivies	D66 - Carence héréditaire en facteur VIII
Appariement avec des sources administratives	Non
Valorisation et accès	
Valorisation et accès	
Accès	

Site internet dédié	https://www.roche.fr/fr/innovation-recherche-medicale/data-sharing-portail-d-information-partage-des-donnees.html
---------------------	---

Existence d'un document qui répertorie les variables et les modalités de codage	Oui
---	-----

Accès aux données agrégées	Accès restreint sur projet spécifique
----------------------------	---------------------------------------

Accès aux données individuelles	Accès restreint sur projet spécifique
---------------------------------	---------------------------------------