

Fiche bibliographie hors AMM

Vonicog alfa (VEYVONDI) en prophylaxie dans la maladie de Willebrand

**Abréviations**

EI : effet indésirable ; EIG : effet indésirable grave ; ETEV : évènement thromboembolique ; pdVWF : plasma derived von Willebrand Factor ; VWF : von Willebrand Factor

**1. Essai clinique (n=2)**

Essai clinique	Référence	Promoteur	Participation du laboratoire	Investigateur principal	Nombre de patients	Schéma thérapeutique	Critère d'évaluation d'efficacité	Critère d'évaluation de sécurité	Résultat	Publication
<b>NCT03879135</b> Inclusions en cours	A Study of Recombinant Von Willebrand Factor (rVWF) in Pediatric and Adult Participants With Severe Von Willebrand Disease (VWD)	Baxalta	Oui (Takeda)	?	71 prévus	En ouvert, non randomisé Deux bras: rVWF à la demande vs prophylaxie	Taux de saignement spontané annualisé (ABR)	EI et EIG	A venir	-
<b>NCT02973087</b> Terminé	rVWF IN PROPHYLAXIS	Takeda	Oui (Takeda)	?	23	En ouvert Deux bras: antérieurement à la demande, antérieurement sous prophylaxie par VWF plasmatique	Taux de saignement annualisé (ABR) pour les épisodes de saignements spontanés	EI et EIG	ABR réduit de 91,5% pour les patients précédemment à la demande et de 45% pour ceux en prophylaxie pdVWF; schéma majoritaire 50U/kg 2 fois par semaine; aucun saignement spontané traité chez 18 patients; 3 procédures invasives : efficacité excellente  1 EI possiblement en lien (céphalée modérée); pas d'anti-rVWF ou anti-FVIII	Recombinant von Willebrand factor prophylaxis in patients with severe von Willebrand disease: phase 3 study results. Frank W G Leebeek, Flora Peyvandi, et al. Blood 2022 <a href="https://doi.org/10.1182/blood.2021014810">https://doi.org/10.1182/blood.2021014810</a>