



# RTG

REGISTRE DE LA THÉRAPIE  
GÉNIQUE DE LA FMH

# Registre sur la thérapie génique de la FMH

**AMÉLIORER NOTRE CONNAISSANCE  
DE LA THÉRAPIE GÉNIQUE ET  
ASSURER LA SÉCURITÉ DES PATIENTS**

Le Registre sur la thérapie génique de la FMH est une initiative mondiale visant à recueillir des données à long terme sur les personnes atteintes d'hémophilie qui reçoivent une thérapie génique. Ces données amélioreront notre compréhension de la thérapie génique et permettront à la communauté hémophile d'avoir accès à des données probantes sur la sécurité et l'efficacité à long terme de la thérapie génique.



# FMH

FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE  
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA  
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA



## Nécessité d'assurer la sécurité de la communauté

Alors que les premiers traitements de thérapie génique pour l'hémophilie sont approuvés, il est impératif de tenir compte des répercussions à long terme sur les patients. Le nombre de personnes atteintes d'hémophilie qui bénéficient d'une thérapie génique peut être limité dans un premier temps – et réparti dans de nombreux pays – ce qui rend difficile l'identification des tendances de résultats et la comparaison des résultats individuels des patients de manière significative. En regroupant les données de tous les pays, le Registre sur la thérapie génique de la FMH facilitera l'évaluation robuste des événements relatifs à la sécurité et l'établissement de la durabilité de la thérapie génique. Ainsi, le registre est le meilleur moyen de s'assurer que les événements indésirables rares sont détectés, même dans des populations plus petites et géographiquement dispersées.

# PARTICIPEZ !

La sécurité des patients atteints d'hémophilie est une responsabilité partagée. Toutes les personnes atteintes d'hémophilie qui ont reçu ou qui recevront un jour un traitement par thérapie génique peuvent participer au Registre sur la thérapie génique de la FMH, quel que soit leur prise en charge. La FMH encourage tous les CTH et les registres nationaux de l'hémophilie à se joindre à cette initiative mondiale.

## Fonctionnement du Registre sur la thérapie génique

Le Registre sur la thérapie génique de la FMH est une plateforme en ligne qui recueille des données uniformes et standardisées sur toutes les personnes atteintes de maladies chroniques qui reçoivent une thérapie génique, soit dans le cadre d'un essai clinique, soit dans le cadre d'un traitement de thérapie génique après son approbation. L'ensemble de données élémentaires du Registre sur la thérapie génique a été développé par un comité de pilotage multipartite et est disponible en ligne. Les données sur les patients seront directement saisies par les centres de traitement de l'hémophilie (CTH) participant au Registre sur la thérapie génique et ajoutées par le biais de notre programme d'intégration des données de thérapie génique, qui permet aux registres nationaux existants de se relier directement au Registre sur la thérapie génique de la FMH, éliminant ainsi la duplication de la saisie des données.

## Contact

Pour en savoir plus sur le Registre sur la thérapie génique de la FMH, veuillez consulter le site [wfh.org/fr/collecte-de-donnees](http://wfh.org/fr/collecte-de-donnees). Si vous êtes un patient et que vous souhaitez participer au Registre sur la thérapie génique de la FMH, veuillez contacter votre Centre de traitement de l'hémophilie local. Si vous faites partie d'un Centre de traitement de l'hémophilie ou d'un registre national et que vous souhaitez participer, veuillez contacter la FMH à l'adresse suivante : [gtr@wfh.org](mailto:gtr@wfh.org).

## Nos partenaires

Le Registre sur la thérapie génique de la FMH a été élaboré en collaboration avec l'*American Thrombosis and Hemostasis Network*, l'Association européenne de l'hémophilie et des troubles connexes (EAHAD), le Consortium européen de l'hémophilie (EHC), la Société internationale de la thrombose et de l'hémostase (ISTH), la *National Hemophilia Foundation* (NHF), ainsi que les partenaires industriels qui développent la thérapie génique et les représentants des instances réglementaires.

Le Registre sur la thérapie génique de la FMH bénéficie du soutien financier des partenaires suivants :

Partenaires visionnaires

**BIOMARIN**

**CSL Behring**  
Biotherapies for Life™

**Pfizer**

**Spark**  
THERAPEUTICS

Partenaire collaborateur

**Takeda**