

LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE

www.wfh.org | www.hemophiliaworld.org



DANS CE NUMÉRO

Le Congrès mondial 2016 de la FMH laisse sa marque

Exploration des options de prestation de thérapie génique

Présentation d'un outil interactif sur les ressources de la FMH

Le traitement pour tous est la vision pour tous: Journée mondiale de l'hémophilie 2016



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

Le Congrès mondial 2016 de la FMH présente à la communauté internationale des personnes touchées par les troubles de la coagulation les dernières avancées scientifiques.



Le Congrès mondial 2016 de la FMH laisse sa marque

Le Congrès mondial 2016 de la FMH, qui a eu lieu en juillet dernier, a connu un grand succès avec un nombre record de 5 482 participants provenant de 137 pays. L'événement a marqué la tenue du premier congrès organisé aux États-Unis depuis plus de 25 ans.

Cette rencontre internationale de premier ordre pour la communauté mondiale des personnes touchées par les troubles de coagulation s'est tenue au Orange County Convention Center (Centre de convention du comté d'Orange), lieu idéal pour les besoins du Congrès mondial de la FMH. La salle d'exposition était très bien située, ce qui permettait aux participants de ne pas avoir à marcher plus de quelques minutes pour se rendre sur le lieu d'une séance. Les hôtels réservés officiellement pour le congrès étaient également très proches du Centre de convention, ce qui a beaucoup facilité l'expérience des participants.

À l'instar des congrès précédents, le Congrès mondial 2016 de la FMH offrait du contenu scientifique approfondi, des récits de patients inspirants et un programme social divertissant. « Nous offrons aux participants un riche éventail d'expériences », a expliqué Alain Weill, président de la FMH. « Les gens viennent ici non seulement pour connaître les dernières avancées scientifiques concernant les troubles de coagulation héréditaires, mais également pour créer des liens avec les membres de la communauté et ériger un réseau de soutien conçu pour durer toute une vie ».

Le programme médical proposait des séances portant sur l'ensemble des tendances associées aux sujets d'actualité dans le monde des troubles de la coagulation, notamment

un aperçu des produits de facteur à demi-vie prolongée, des innovations concernant l'induction de la tolérance immunitaire s'appliquant à l'hémophilie, de la gestion des inhibiteurs, de la thérapie génique, des approches génomiques employées dans le domaine des troubles de la coagulation et des progrès accomplis au niveau de la compréhension des inhibiteurs. Le programme pluridisciplinaire couvrait quant à lui un nombre équivalent de sujets, comme les soins dispensés aux patients, les produits à demi-vie prolongée, les femmes atteintes d'hémophilie, l'impact de la prophylaxie sur les enfants, une mise à jour sur les effets de l'hépatite C sur les patients hémophiles et le vieillissement des personnes hémophiles. Certains événements donnaient droit à l'obtention de crédits d'éducation permanente ou à l'accréditation à la formation médicale continue.

Plusieurs patients ont pris part au Congrès pour parler de leur vécu, de la façon de gérer un trouble de la coagulation et de vivre avec cette maladie; beaucoup de proches étaient également présents pour exprimer leurs propres points de vue. Jeanne White-Ginder, porte-parole des personnes atteintes du SIDA, a parlé de son expérience. Kari Atkinson, quant à elle, a évoqué le quotidien de sa famille lorsque son fils Beau a été diagnostiqué hémophile avec un inhibiteur. Gerard O'Reilly

a pour sa part parlé de son vécu en tant que personne hémophile atteinte de l'hépatite C.

Le programme social était un autre point fort du Congrès. La cérémonie d'ouverture a fait suite à une nouvelle discussion en groupe durant laquelle Jorge de la Riva, président du Conseil de la FNH, Alain Weill, président de la FMH, Alain Baumann, chef de la direction de la FMH et Val Bias, chef de la direction de la FNH ont parlé de leur objectif commun d'appui aux personnes atteintes de troubles de la coagulation. Le mardi, des centaines de personnes ont pris part à la réception de réseautage pour le pays d'accueil au World ShowPlace Pavilion, à Epcot®. Durant la soirée, les participants ont pu se restaurer, danser et ont bien sûr eu droit à une visite-surprise de Mickey, Minnie, Donald et Pluto.

Le Congrès mondial 2016 de la FMH aurait été impossible sans la générosité d'une équipe dévouée de bénévoles. Cette année, 80 bénévoles faisaient partie du personnel de la NHF et du personnel de la section locale de Floride de la NHF; ces personnes ont prêté main-forte pour organiser le congrès, juste après la fin de la 68^e Assemblée annuelle de la NHF.

La FMH aimerait remercier tous les participants, les commanditaires et la NHF pour le soutien offert lors de ce congrès. Une fois de plus, l'événement est une réussite et nous espérons vous rencontrer tous à Glasgow en 2018.



LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE

OCTOBRE 2016 • Volume 23, No. 2

Président

Alain Weill

Comité de rédaction

Antonio Jose Almeida
Alain Baumann
Jens C. Bungardt
Paula Curtis
Magdy El-Ekiaby
Sarah Ford
Assad Haffar
Michel Semienchuk

Rédacteur

Michel Semienchuk

Collaborateurs

Antonio Jose Almeida
Alain Baumann
Mark Brooker
Jens C. Bungardt
Paula Curtis
Roddy Doucet
Sarah Ford
Vanessa Herrick
Nicola Hope
Deb Nerud
Stephanie Pineda
Fiona Robinson
Marlene Spencer
Michel Semienchuk
Vicky Uhland

Production du design

Em Dash Design

Production de la version imprimée

AS Lithographe

Photos

© 2016 Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH)

Le monde de l'hémophilie est publié trois fois par an par la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH).

Les opinions exprimées dans *Le monde de l'hémophilie* ne sont pas nécessairement celles de la FMH. Les organisations de l'hémophilie qui le souhaitent sont autorisées à traduire ou à réimprimer tout le contenu de la présente publication, à condition de citer la FMH comme source.

Esta publicación esta disponible en español. Traducido al español por Rosi Dueñas – McCormick & Assoc.

Le monde de l'hémophilie est disponible en format pdf à l'adresse suivante www.hemophiliaworld.org/pdf

NOS COORDONNÉES

1425, boul. René-Lévesque Ouest Bureau 1010
Montréal, Québec H3G 1T7 Canada
Tél : +1 (514) 875-7944
Télec. : +1 (514) 875-8916
Courriel : wfh@wfh.org
Site Web : www.wfh.org



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



Plateforme d'apprentissage électronique de la FMH

Un accès centralisé à toutes
les ressources

eLearning.wfh.org



FMH

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

Selon le président de la FMH, l'éducation est l'autre facette de l'équation « Traitement pour tous »

En 1942, Antoine de Saint Exupéry, auteur du livre *Le Petit Prince*, écrivait à l'un de ses amis : « Celui qui diffère de moi, loin de me léser, m'enrichit. »

Presque 75 ans plus tard, il est toujours important pour toutes les personnes travaillant dans la communauté des personnes touchées par les troubles de la coagulation de réfléchir sur cette évidence, a déclaré Alain Weill, président de la FMH, durant la séance plénière du Congrès mondial 2016 de la FMH intitulée « Traitement pour tous : une autre facette de l'équation ».

Bien que beaucoup de choses aient été réalisées dans le domaine de la sensibilisation aux troubles de la coagulation et leur traitement, Alain Weill a déclaré qu'il restait encore beaucoup à faire.

Les accomplissements récents comprennent l'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH. Entre 1996, année à laquelle la FMH a initié le programme, et 2011, le volume annuel moyen d'unités internationales (UI) de facteur de coagulation données aux pays en voie de développement a été de 10,5 millions. Entre 2012 et 2014, les dons de facteur ont augmenté pour atteindre 25,5 millions d'UI par an et ils ont atteint le chiffre faramineux de 116 millions d'UI durant les 12 derniers mois.

En plus d'offrir des options de traitement en plus grand nombre, un autre objectif était d'utiliser le Programme d'aide humanitaire de la FMH comme levier pour démontrer aux hauts fonctionnaires gouvernementaux comment un traitement approprié peut permettre aux personnes atteintes d'hémophilie de mener une vie normale et de participer activement aux activités sociales et économiques de leur pays.

Cet aspect est crucial, car de trop nombreuses personnes de la communauté mondiale des personnes touchées par l'hémophilie continuent à vivre dans la frustration, la discrimination et l'intolérance. « Cette inégalité stimule ma passion pour la défense permanente de notre cause, a déclaré Alain Weill. Nous devons éliminer la stigmatisation associée aux troubles de la coagulation, sans faire aucun compromis. »

Même dans les pays industrialisés, il semble que la société est mal à l'aise avec les personnes atteintes de troubles de la coagulation et leur famille, a déclaré Alain Weill. Le coût des



Alain Weill – président de la FMH

facteurs de coagulation peut être prohibitif. Les possibilités d'emploi peuvent être limitées. Dans certains pays, une personne atteinte d'une incapacité ou d'un handicap ne peut pas obtenir de prêt bancaire. Et dans de nombreux pays, il n'est pas rare que des prestataires de soins craintifs refusent d'offrir des services à des personnes hémophiles.

Les enfants atteints de troubles de la coagulation continuent à faire face à la discrimination, a déclaré Alain Weill. Dans de nombreux pays, lorsqu'un enfant reçoit un diagnostic de trouble de la coagulation, bon nombre de familles doivent faire face à des difficultés dévastatrices. Dans certains cas, lorsqu'un enfant hémophile atteint l'âge de la scolarité, certains enseignants mal informés croient que les troubles de la coagulation sont transmissibles et interdisent à cet enfant d'accéder à leur classe.

Par peur de la contamination, certains parents ne veulent pas que leurs enfants jouent avec des enfants atteints d'un trouble de la coagulation, précise Alain Weill, qui ajoute : « En plus de devoir gérer leur déficit en matière de coagulation, de nombreux enfants se retrouvent confrontés à l'anxiété, la dépression et l'isolement ».

Cependant, il existe des mesures que les membres de la communauté des personnes touchées par les troubles de la coagulation peuvent prendre pour combattre cette discrimination et cette intolérance. Un de ces moyens est d'éduquer les gouvernements et les dirigeants au sujet de la législation et de la réglementation en vigueur protégeant les personnes atteintes d'un handicap. Il y a aussi l'article 1 de la Déclaration universelle des droits de l'homme, adoptée en 1948, et la Convention des Nations-Unies relative aux droits des personnes handicapées, approuvée en 2006.

De plus, la FMH s'est récemment engagée relativement au plan d'action *WFH Transform 2016* (FMH - Transformer 2016), lequel augmente le nombre de gestionnaires de programmes régionaux dans le monde entier afin d'évaluer les situations régionales et de proposer des solutions.

La FMH deviendra également membre de *Rare Diseases International* (Maladies rares - international) dont l'objectif principal est de convaincre les Nations-Unies de faire des maladies rares une priorité de santé internationale.

Alain Weill encourage vivement chaque membre de la communauté des personnes touchées par les troubles de la coagulation à réfléchir localement au thème de l'éducation. « Alors que vous vivez l'expérience du Congrès, rassemblez les outils que vous pouvez ramener dans vos propres collectivités pour éduquer les gens et faire changer les choses », a-t-il déclaré.

« Lorsque nous sensibilisons les gens au fait qu'être un patient atteint d'un trouble rare de la coagulation ne définit pas la personnalité de cet individu et qu'il est préférable de percevoir ce patient comme un membre actif de la société qui enrichit sa communauté, nous démontrons qu'il est bien vrai que la tolérance constitue la plus importante finalité de l'éducation ».

Selon la vice-présidente médicale de la FMH, l'avenir du traitement de l'hémophilie est très prometteur

Le traitement de l'hémophilie est entré dans une ère fort prometteuse grâce à de nouveaux produits rendant accessibles le diagnostic et le traitement pour une population beaucoup plus importante qu'auparavant, a déclaré Marijke Van den Berg, MD, vice-présidente médicale de la FMH, durant le discours prononcé en plénière lors du Congrès mondial 2016 de la FMH.

La séance a couvert diverses études portant sur des personnes atteintes d'hémophilie A grave, études qui démontrent comment une prophylaxie administrée précocement peut prévenir les saignements et s'avère essentielle pour l'obtention de meilleurs résultats articulaires. La prophylaxie utilisée dans ces modèles remplace la thérapie épisodique, un traitement fréquemment utilisé pour l'hémophilie depuis les années 1970.

« Le traitement moderne de l'hémophilie a complètement modifié le phénotype, mais ce n'est pas le cas dans les pays où un traitement précoce n'est pas disponible », a déclaré Marijke Van den Berg.

M^{me} Van den Berg a ensuite cité une étude américaine de très grande portée sur des patients atteints d'hémophilie A grave, lesquels ont été divisés en quatre cohortes en fonction de leur date de naissance. Même dans le groupe de patients nés dans les années 1980, les niveaux d'invalidité étaient élevés, a-t-elle expliqué, avec en moyenne plus de cinq saignements articulaires sur une période de six mois, malgré une très forte consommation de facteur de coagulation.

L'étude internationale de grande envergure portant sur la fonction musculo-squelettique dans l'hémophilie (MUSFIH) effectuée sur des enfants atteints d'hémophilie A grave a démontré que des saignements importants s'observaient même avec l'administration d'une très forte posologie de facteur de coagulation, a déclaré M^{me} Van den Berg. L'étude a également montré que c'est le nombre de saignements et non la dose de traitement épisodique, qui est lié aux résultats articulaires. Il est essentiel de comprendre cet élément, notamment puisqu'il est établi que la fonction articulaire se détériore après l'âge de 12 ans. De plus, des signes de perte de la fonction articulaire sont souvent visibles dès la puberté en raison des poussées de croissance

M^{me} Van den Berg a cité une petite étude randomisée indiquant qu'une prophylaxie à faible dose, plutôt qu'un traitement épisodique, réduisait les saignements dans une



La vice-présidente médicale Marijke van den Berg parle des nouvelles avancées pour le traitement de l'hémophilie.

proportion de 80 %. La recherche montre également qu'un diagnostic précoce est crucial. « N'oubliez pas, plus de 50 % des personnes atteintes d'hémophilie A grave ont des antécédents familiaux négatifs », a-t-elle ajouté.

Quand et comment devez-vous commencer la prophylaxie? M^{me} Van den Berg a indiqué que la recherche préconisait de commencer avant l'âge de trois ans, car les scores de l'examen physique, qui étaient les lésions articulaires, augmentent lorsque le traitement est retardé. Les recherches indiquent que la prophylaxie à faible dose doit être administrée au moins une fois par semaine.

Il existe une corrélation entre les scores articulaires et la posologie de facteur de remplacement. « Avec une dose de 1 000-1 500, il y a beaucoup de bénéfices », indique M^{me} Van den Berg. La bonne nouvelle pour les personnes vivant dans les pays en voie de développement, où l'approvisionnement en facteur est limité, est que les données montrent qu'une prophylaxie administrée durant toute

la vie (1 000 UI/kg) est beaucoup plus efficace qu'un traitement épisodique. « Vous pouvez améliorer de façon significative les résultats avec une consommation limitée de facteur », a-t-elle déclaré.

Cependant, pour mettre en œuvre une prophylaxie à faible dose, l'existence de centres de soins exhaustifs est essentielle, a déclaré M^{me} Van den Berg. Elle a récemment visité deux centres de formation internationaux de traitement de l'hémophilie qui illustrent parfaitement cet aspect. Le centre de Campinas, au Brésil, dirigé par Margareth Castro Ozelo, MD, et le centre de Johannesburg, en Afrique du Sud, dirigé par Johnny Mahlangu, MD. Le centre de Johannesburg traite 1 200 patients avec un taux impressionnant de 35 % de traitement prophylactique et de traitement à domicile.

Malheureusement, ces centres sont l'exception. Des données récentes provenant d'Afrique montrent que moins de 5 % des cas d'hémophilie ont été diagnostiqués. « La raison principale est l'absence de traitement disponible ou une disponibilité très limitée », a précisé M^{me} Van den Berg.

Le Programme d'aide humanitaire de la FHM comblera de façon substantielle ce manque. Entre 2016 et 2020, le programme prévoit d'assurer un approvisionnement prévisible de 500 millions d'UI de facteur, a expliqué M^{me} Van den Berg. La disponibilité des produits permettra de multiplier les diagnostics ce qui entraînera également plus de formation et, dans certains cas, des interventions chirurgicales reconstructives.

Pour conclure, M^{me} Van den Berg a déclaré que les données scientifiques démontrent que seule la prophylaxie primaire peut prévenir les maladies articulaires et que le traitement épisodique n'est pas un traitement approprié pour l'hémophilie A grave. Lorsque des saignements articulaires apparaissent, des signes d'arthropathie s'observent même si une prophylaxie à très haute dose est administrée par la suite.

Un nouvel aspect prometteur concernant le système de coagulation

Tous les facteurs intervenant dans le système de coagulation sont-ils vraiment connus? La thrombine est l'enzyme principal du système qui contrôle la formation du caillot. Une quantité trop importante ou trop faible de thrombine peut provoquer soit une thrombose soit une hémorragie.

Lors de la séance plénière médicale intitulée « *Rethinking Events in the Hemostatic Process: Role of factor V and TFPI* » (Repenser les événements du processus hémostatique : Rôle du facteur V et de l'inhibiteur de la voie du facteur tissulaire (TFPI)), qui a eu lieu durant le Congrès mondial 2016 de la FMH, Rodney Camire, de l'hôpital pour enfants de Philadelphie, aux États-Unis, a expliqué que les inhibiteurs qui agissent sur le facteur Xa généré par les voies de coagulation intrinsèque et sur la prothrombinase elle-même ont tous un impact sur la régulation de la thrombine. « En modérant les inhibiteurs, vous pouvez contrôler la thrombine », a-t-il déclaré.

Partageant son expertise avec des centaines de participants, Rodney Camire a expliqué : « Le FV est très similaire au FVIII par certains aspects et doit être traité sur des sites spécifiques ». Il a poursuivi en indiquant que FV est cependant un procofacteur nécessitant une activation protéolytique, y compris le retrait du domaine B. Il a fait remarquer qu'une étape importante de la génération de la thrombine est l'activation de FV vers FVa. On croit généralement qu'un des rôles de ce domaine B est de bloquer l'activité du procofacteur FV.

M. Camire et son équipe de recherche ont étudié la façon dont les deux régions du domaine B, la région de base (BR) et la région acide (AR2) contribuent à maintenir la molécule dans cet état inactif. Ils ont toutefois découvert qu'il existe un segment discret du domaine B qui a une fonction auto-inhibitrice essentielle, soit de maintenir FV comme procofacteur. « La distribution dans cette région est la force motrice qui permettra peut-être de dévoiler un site de liaison de haute affinité pour FXa », a-t-il expliqué. M. Camire a déclaré que certains serpents australiens possèdent une forme unique de FV dans leur venin, lequel n'a pas ces séquences inhibitrices, ce qui crée un cofacteur procoagulant actif.

L'inhibiteur de la voie du facteur tissulaire (TFPI) existe normalement sous forme de deux variantes dans le sang. TFPI α et TFPI β . Le TFPI se lie au FV dans le plasma, mais ne présente aucune affinité pour FVa. « Il y a deux à trois différentes formes de FV qui sont générées durant l'initialisation de la coagula-



tion et qui sont sensibles au TFPI α », a déclaré M. Camire.

M. Camire a également précisé que de nouvelles formes physiologiques du FV avaient été signalées. Citant des recherches effectuées dans l'est du Texas (États-Unis), il a décrit une famille de personnes atteintes d'un trouble de la coagulation modérément grave chez qui on avait observé une mutation de l'exon 13 de FV, ce qui a un impact sur l'épissage de la transcription. La forme résultante du FV se retrouve essentiellement privée de la plupart du domaine B, y compris de BR (région de base), mais se loge dans la région acide. Il a été démontré que cette forme de FV, connue sous l'appellation de FV court, se lie au TFPI α .

Ces patients sont connus pour présenter un niveau 10 fois supérieur au niveau physiologique normal de TFPI α . Cette recherche, entre autres, a donné lieu à l'hypothèse selon laquelle TFPI α altère la fonction des différentes formes de FV(a), ce qui a un impact sur la génération de thrombine. Ceci représente actuellement une cible thérapeutique pour le traitement de l'hémophilie.

Rodney Camire a conclu en indiquant que les preuves laissent croire que le blocage de la fonction TFPI et l'inhibition de l'activation du FV peuvent améliorer la coagulation. « Les anticorps ciblant TFPI font l'objet d'essais cliniques actuels. Des séquences spécifiques [FV] du domaine B sont des éléments auto-inhibiteurs clés responsables du maintien du FV comme procofacteur. Le démantèlement de ces séquences stimule l'activation du FV. »

De nouveaux traitements des inhibiteurs pourraient changer le traitement de l'hémophilie

Étant donné que le traitement de l'hémophilie avec des inhibiteurs demeure problématique et que les inhibiteurs peuvent être un élément important pour les nouvelles approches comme la thérapie génique, il est tout à fait pertinent qu'une séance du Congrès se soit penchée sur les traitements de remplacement dans la gestion des inhibiteurs.



Midori Shima, de la Nara Medical University, du Japon, a présidé la séance conçue pour aider les participants à comprendre la prochaine génération de traitements pour les personnes atteintes d'hémophilie avec inhibiteurs. « Cette séance vise à résumer les concepts actuels de développement et d'éradication des inhibiteurs du point de vue immunologique et à présenter de nouveaux traitements émergents », a déclaré Midori Shima. David Lillicrap, de l'Université Queen's, du Canada, a présenté les nouvelles hypothèses sur les causes des inhibiteurs et sur leur élimination. Rebecca Kruse-Jarres, de l'Université de Washington, aux États-Unis, a expliqué comment un facteur FVIII recombinant porcin est un puissant agent thérapeutique hémostatique.

Midori Shima a fourni des informations détaillées concernant des essais cliniques effectués sur trois nouveaux traitements : un anticorps bispécifique anti-FIXa/X (emicizumab), essai clinique auquel il a directement participé, un anti-antithrombine ARNsi (fitusiran) et un anticorps anti-TFPI (concizumab).

Exploration des options de prestation de thérapie génique



Christopher Doering parle des possibilités qu'offrent les cellules souches

Cette année, le Congrès mondial de la FMH comportait une séance durant laquelle les scientifiques participant aux approches pour traiter l'hémophilie par la thérapie génique ont fait le point sur les avancées au niveau de l'administration des traitements par les cellules souches, de la modification du génome et des vecteurs AAV ciblés sur le foie. David Lillicrap de l'Université Queen's, au Canada a présidé cette séance et indiqué que l'élan pris par la thérapie génique clinique était remarquable.

Christopher B. Doering, de l'Université Emory, aux États-Unis, a expliqué le processus d'utilisation des cellules souches dans la thérapie génique pour traiter l'hémophilie A. La technologie des cellules souches a été appliquée pour la première fois aux lymphocytes T durant les années 1990, mais des préoccupations de sécurité ont imposé la reprise de la recherche dans les laboratoires universitaires, a déclaré M. Doering.

« Les cellules souches sont des populations rares de cellules non spécialisées qui s'auto-renouvellent et peuvent devenir d'autres cellules, a déclaré M. Doering. Des cellules donneuses provenant d'une personne non affectée (à partir du sang) sont transplantées sur le patient. Afin d'appliquer cette approche à l'hémophilie, un transfert génique peut être requis. »

Christopher B. Doering a déclaré qu'il est parfois possible d'utiliser les propres cellules du patient collectées en périphérie ou à partir de la moelle osseuse. Afin d'implanter des cellules souches, certaines cellules du patient doivent au préalable être neutralisées pour offrir de la « place » aux nouvelles cellules.

Parmi les défis liés à l'association de la technologie sur le transfert génique et de la technologie sur les cellules souches pour traiter l'hémophilie, on peut mentionner l'optimisation de l'expression transgénique et de la biosynthèse de production et le conditionnement sûr et efficace de prétransplantation ainsi que la fabrication d'un vecteur clinique, a déclaré M. Doering. « Les cellules souches peuvent durer toute la vie d'un individu et nous disposons donc d'une guérison potentielle. Nous avons seulement besoin de cibler quelques cellules, car chaque cellule souche produira des centaines de cellules filles. »

Un essai clinique pilote a été approuvé par la *Food and Drug Administration* des États-Unis; il a débuté avec un site d'essai unique à l'Université Emory, aux États-Unis.

Matthew Porteus, de l'hôpital pour enfants Lucille Packard, aux États-Unis, a déclaré que la modification du génome est une méthode de correction des variantes provoquant des maladies. « Il s'agit d'une mutagenèse précise

et contrôlée du génome. La création d'une rupture dans l'ADN force les cellules à aller à la recherche de cette rupture et à effectuer une réparation. Ainsi, nous pouvons stimuler des mutations au niveau du site de la rupture. »

La réparation pourrait changer la séquence d'ADN pour une autre séquence qui existe déjà dans le génome ou pour quelque chose de nouveau en utilisant la biologie synthétique. Cette seconde option « crée un nouveau phénotype thérapeutique dans la cellule. En ce qui concerne l'hémophilie, ceci pourrait être utilisé pour la surexpression d'un facteur de coagulation », a déclaré Matthew Porteus.

La recombinaison homologue pour modifier les variantes des nucléotides uniques comprend l'administration d'une nanoparticule de virus adéno-associé (AAV). « Dans les travaux de recherche sur l'anémie à hématies falciformes, on observe un taux de succès de 20 pour cent environ. Nous pouvons également insérer une cassette de gènes dans un lieu sûr ou dans un emplacement unique du génome », a déclaré Matthew Porteus.

« Cibler l'ajout transgénique sans annihiler le gène cible ou empêcher un gène d'être hautement exprimé est porteur d'applications très intéressantes, a fait remarquer Porteus. Il existe des possibilités et des défis pour la modification génique *in vivo* applicable à l'hémophilie. Il n'y aurait pas besoin de donner aux patients des agents de conditionnement et c'est une méthode possible pour modifier des cellules qui fabriquent naturellement des facteurs de coagulation ». Cependant il existe un inconvénient, soit une relative incapacité à surveiller l'efficacité et les effets en dehors de la cible, a-t-il ajouté.

Matthew Porteus a souligné l'existence de préoccupations éthiques liées à la modification génique, soit l'équité et la distribution, ainsi que la façon de rendre cette technologie accessible aux personnes atteintes d'hémophilie, partout dans le monde.

Brigit E Riley, de la société Sangamo BioSciences, aux États-Unis, a présenté de nouvelles données sur la thérapie génique FVIII via le transport par AAV. « L'utilisation de l'AAV dans les essais cliniques et précliniques pour

FIX a été couronnée de succès. Cependant, on observe un délai dans la clinique pour FVIII. »

Elle a déclaré également qu'une thérapie génique AAV FVIII cADN axée sur le foie était à l'étude. L'AAV recombinant est efficace et stable à long terme dans les tissus qui ne se divisent pas comme le foie, le cerveau et les muscles. Ceci offre la possibilité d'une production à long terme d'un gène présentant un intérêt pour le foie. FVIII n'est toutefois pas un gène idéal pour le transport par AAV, car il est limité par la taille importante du gène et la faible efficacité de la transcription/traduction. Les modifications multifactorielles permettent de résoudre en partie ces problèmes. « Avec les modifications, le rendement viral a augmenté entre 8 et 10 fois », a déclaré Brigit E Riley.

Elle a également fait remarquer que des données provenant d'expériences *in vitro* montraient une bonne corrélation entre l'activité du FVIII et les niveaux pour un intervalle de doses. *In vivo*, l'expression de la cassette hFVIII (humain FVIII) à partir du véhicule AAV sur des souris de type sauvage a produit une expression de FVIII deux fois supérieure au niveau physiologique normal. Des expériences supplémentaires menées sur une souris atteinte d'hémophilie A ont indiqué que l'activité *in vivo* du FVIII était trois fois supérieure aux niveaux physiologiques normaux, avec des niveaux qui étaient stables dans le temps. Un temps de saignement réduit a également été observé. Chez les primates non humains, des expériences semblables *in vivo* ont produit des niveaux de FVIII de quatre à six fois supérieurs à la normale physiologique. « Des études de suivi sur la posologie visent à déterminer la dose minimale », a déclaré Brigit E Riley.

En dépit de ces fascinants progrès, le défi des incitatifs financiers doit encore être abordé. Matthew Porteus a posé la question, « Sans modèle établi de remboursement pour une thérapie génique unique, on peut se demander si les parties prenantes sont prêtes à prendre un risque concernant des thérapies curatives expérimentales qui sont fondées sur une base conceptuelle différente alors que le paradigme actuel a transformé la vie des patients hémophiles. »

Le visage des inhibiteurs : les patients, les familles et les prestataires de soins partagent leur vécu

Les inhibiteurs affectent entre 20 et 40 % des personnes atteintes d'hémophilie A grave. Lors du Congrès mondial 2016 de la FMH, des patients, des familles et des prestataires de soins concernés par cette pathologie rare ont participé à discussion de groupe et raconté leurs difficultés et leurs succès.

Kari Atkinson, son fils Beau âgé de 13 ans à ses côtés, a fait une présentation émouvante sur sa vie, celle de Beau, celle de son mari Craig et celle de leur fille Jordan depuis que Beau a été reçu un diagnostic d'hémophilie avec un inhibiteur.

Beau a reçu un diagnostic d'hémophilie A grave alors qu'il n'avait que six mois. Kari et Craig étaient atterrés, car il n'y avait pas d'antécédents connus d'hémophilie dans leurs familles. Ils ne se doutaient pas toutefois que la situation allait empirer.

Lorsque Beau a passé un test sanguin de routine à l'âge de 18 mois, les médecins ont découvert un inhibiteur. « La détection de cet inhibiteur a littéralement bouleversé le monde dans lequel nous vivions, déclare Kari. C'est tellement différent de l'hémophilie normale. Tous les soirs nous faisons une prière pour que ce soit juste un cas d'hémophilie normale. »

L'inhibiteur de Beau affecte toute la famille, a expliqué Kari. « Toutes les personnes présentes ici connaissent le nombre de nuits que nous avons passé à pleurer et sans dormir. Il s'agissait au départ d'un faible titre d'inhibiteur et le premier traitement a été efficace pendant quatre ans. Le traitement suivant ne pouvait être administré que durant une seule année. Depuis 2012, Beau, sa famille et ses prestataires de soins luttent pour gérer son inhibiteur et ont essayé différents traitements de facteur et inséré des ports à deux reprises.

« Le coût des soins est passé de 250 000 \$ par an pour l'hémophilie à une somme variant entre 1 million et 1,5 million \$ par an avec l'inhibiteur, en fonction du nombre de saignements », a déclaré Kari.

La gestion de l'hémophilie et de l'inhibiteur de Beau est un véritable engagement familial, a déclaré Kari. « Nous devons être en alerte en permanence. [Lorsqu'un saignement apparaît], quelques minutes peuvent faire la différence entre la marche, l'utilisation de béquilles ou du fauteuil roulant. Peu importe que nous soyons dans la voiture ou au parc de loisirs, nous devons faire une perfusion ».

À l'école, Beau reste à l'arrière des files d'attente de façon à ne pas être bousculé. Il ne peut pas participer aux activités récréatives, mais ses amis le soutiennent beaucoup. De plus, « Les autres patients affectés par un inhibiteur forment une famille qui va au-delà de toutes les autres familles », a déclaré Kari.

« Il faut un village pour élever un enfant atteint d'hémophilie, mais un village encore plus



Beau Atkinson regarde tandis que sa mère Kari parle de la façon dont sa famille compose avec l'hémophilie grave A avec inhibiteur dont son fils est atteint.

grand pour élever un enfant affecté par un inhibiteur. »

Mais il y a également de nombreux aspects positifs, a déclaré Kari, alors que Beau souriait à ses côtés. Beau reçoit actuellement pour sa tolérance immunitaire un traitement d'induction avec un facteur à demi-vie prolongée, tous les deux jours. Ses niveaux d'inhibiteur présentaient des pics au départ, mais ils sont aujourd'hui stables.

Augustus Nedzinkas, jeune homme lituanien de 29 ans, a reçu un diagnostic d'hémophilie A avec inhibiteur lorsqu'il était âgé de 14 mois. À l'époque, le traitement de l'hémophilie était rudimentaire en Lituanie et « parfois, les saignements ne s'arrêtaient que lorsque l'articulation était élargie au maximum », déclare-t-il.

Augustus a néanmoins été en mesure d'aller à l'école publique, d'obtenir un diplôme universitaire, d'acquiescer un emploi à temps plein et même de faire de la plongée sous-marine.

Augustus présentait de faibles niveaux d'inhibiteur pendant plusieurs années. En 2012, ses médecins ont donc décidé d'essayer un traitement de tolérance immunitaire à forte dose de 100 UI/kg, deux fois par jour. Ce type de traitement n'avait jamais été utilisé auparavant en Lituanie, mais ce fut une réussite. Le niveau d'inhibiteur d'Augustus est tombé au-dessous de zéro dès le premier mois.

« Ils ont ensuite prescrit une prophylaxie quotidienne et cela a beaucoup amélioré ma vie, a-t-il déclaré. La première chose que j'ai faite était d'aller pêcher au harpon et d'attraper mon poisson-trophée. J'ai changé la boîte de vitesses de ma voiture pour passer d'une boîte automatique à une boîte manuelle. De plus, je me suis marié ». L'année suivante, Augustus a subi une intervention chirurgicale reconstructive du

genou. « Aujourd'hui je peux faire des plans et espérer que ma santé ne sera pas un problème. Il me suffit de me faire une perfusion tous les matins », a-t-il déclaré.

Kuixing Li, infirmière au *Peking Union Medical College Hospital*, en Chine, a parlé des inhibiteurs d'un point de vue des prestataires de soins.

Un de ses patients était un jeune garçon âgé de neuf ans ayant développé un inhibiteur. « Il était dans un fauteuil roulant et il s'énervait souvent et était toujours en colère, déclare Kuixing. Parfois même, il voulait abandonner son traitement ». Sa famille ne pouvait pas se permettre de payer pour le facteur et il devait utiliser à la place des concentrés de complexe de prothrombine (PCC).

Le jeune garçon a en fin de compte quitté l'hôpital après avoir eu une hémorragie cérébrale. Un jour, Kuixing a appelé sa grand-mère pour avoir de ses nouvelles. « Ce n'est pas une fin heureuse, a-t-elle déclaré au bord des larmes. J'ai appris qu'il était décédé, l'hémorragie n'ayant pas pu être arrêtée. »

Ce n'est pas une situation inhabituelle en Chine où on estime qu'il y a entre 100 000 et 150 000 personnes hémophiles. « Parfois, je pense que si la FMH veut mettre en œuvre son objectif de traitement pour tous, elle devrait déménager son bureau en Chine », déclare Kuixing en souriant.

En 2015, il n'y avait que 31 centres de traitement de l'hémophilie dans toute la Chine, mais c'est malgré tout une augmentation remarquable par rapport aux six centres qui existaient en 2007. De plus, il n'y a qu'environ 20 000 patients inscrits au registre national.

Après la mise en place d'un programme national entre 2008 et 2011 visant à détecter les personnes atteintes d'hémophilie avec inhibiteurs, la Chine a développé un plan de gestion des inhibiteurs qui comprend une perfusion de PCC après des saignements et une prophylaxie à faible dose, a expliqué Kuixing. Ce traitement fonctionne pour 50 % des patients environ, a-t-elle ajouté. Dans le même temps, les sites de discussion en ligne sont très utilisés par les patients ayant un inhibiteur qui ne peuvent pas se permettre de payer un traitement avec un facteur et qui choisissent donc d'utiliser des doses dangereusement élevées de PCC (concentrés de complexe de prothrombine).

« Il s'agit d'un gros défi pour les prestataires de soins qui veulent offrir des soins de qualité aux patients hémophiles vivant en Chine », a déclaré Kuixing.

Le Congrès mondial 2016 d



e la FMH en photos



Repenser l'autotraitement

En 2007, Adam, le jeune frère de Patrick Lynch, est décédé d'une hémorragie intracrânienne à l'âge de 18 ans. Patrick et Adam étaient tous les deux nés atteints d'une hémophilie A grave.

Patrick n'avait que 22 ans à l'époque. « Comme vous pouvez l'imaginer, les mois, et très franchement, les années qui ont suivi ont été difficiles. Je me souviens m'entendre dire, « [L'hémophilie] l'a tué. On ne devrait plus mourir de cela, mais c'est ce qui l'a tué », a déclaré Patrick durant la plénière intitulée « Renforcer le pouvoir des patients par l'autotraitement », qui a eu lieu lors du Congrès mondial de la FMH, en juillet.

Patrick, qui voulait à tout prix comprendre pourquoi Adam était mort, a effectué des recherches pour trouver un indice. Il a trouvé celui-ci au fond d'un sac laissé dans un coin du dortoir du collège d'Adam. Le sac était rempli de facteur de coagulation. Patrick soupçonne que son frère avait arrêté son traitement prophylactique.

« J'ai consacré énormément de temps à tenter de comprendre pourquoi il avait arrêté son traitement, a indiqué Patrick. Je suis finalement arrivé à la conclusion que mon frère ne s'était jamais identifié comme ayant un trouble de la coagulation. C'est ce qui l'a amené à arrêter son traitement. »

Patrick ne s'est jamais considéré de la même façon. Il a développé un inhibiteur durant son enfance, mais l'induction de la tolérance immunitaire l'a éliminé alors qu'il était âgé de 13 ans. Patrick a été en mesure de suivre un traitement prophylactique et de vivre, comme il le dit lui-même, « une vie beaucoup plus active ». Il a participé à une troupe de théâtre à l'école secondaire et a obtenu une majeure en théâtre à l'Université de Boston.

Patrick a toujours valorisé l'autotraitement de son hémophilie mais le décès d'Adam lui a fait

réaliser que d'autres personnes, particulièrement les enfants, ne le font probablement pas.

« Ceci m'a fait réfléchir à la façon dont nous, en tant que communauté, engageons les jeunes, a-t-il déclaré. Et j'ai découvert une occasion d'utiliser mon expérience de comédien pour créer quelque chose qui n'existait pas. » Son frère ne s'est pas connecté à la communauté des personnes touchées par les troubles de la coagulation de façon traditionnelle, mais à l'instar de nombreux autres jeunes, il aimait la comédie et l'Internet.

Ainsi, Patrick a créé une société, « Believe Unlimited », et une série de comédies en ligne dont le style est similaire à celui de l'émission de télévision « The Office ». Intitulée « Stop the Bleeding » (Arrêtons les saignements), la série disponible sur stbhem.com est un faux documentaire sur une organisation à but non lucratif dysfonctionnelle traitant les troubles de la coagulation. La série utilise l'humour pour aborder des sujets sérieux tels que l'autotraitement et l'autoperfusion, les femmes atteintes de troubles de la coagulation et l'histoire de l'hémophilie.

« Nous voulons informer les jeunes personnes atteintes de troubles de la coagulation mais nous voulons surtout les inspirer », déclare Patrick. L'objectif est de remplacer la stigmatisation et la peur de l'hémophilie par l'idée que la maladie peut être « drôle, à la mode, voire même stimulante », déclare-t-il.

Depuis le lancement de « Stop the Bleeding », la société de Patrick a également créé une série de présentations en direct intitulée « Powering Through », les prix « Impact » reconnaissant des adolescents atteints de troubles de la coagulation, un podcast mensuel intitulé

« Bloodstream » et une série animée intitulée « Helping Hany » qui examine ce que sont les implications psychosociales pour une jeune fille atteinte d'un trouble de la coagulation. Il a également produit des vidéos pour la série Traitement pour tous de la FMH.

Toutes ces activités correspondent à la définition de Patrick de l'autotraitement. « Mon parcours et ma compréhension de l'autotraitement ont évolué, déclare-t-il. Il ne s'agit pas uniquement d'autoperfusions, d'étirements et du maintien d'un bon régime alimentaire. Pour moi, l'autotraitement c'est aussi redonner quelque chose à la communauté et renforcer son autonomie. »

Il reconnaît également qu'il a une « définition privilégiée de l'autotraitement, privilège dont ne profitent pas 75 pour cent des communautés des nations en voie de développement ». C'est pourquoi il considère que les habitants du monde industrialisé ont l'obligation d'aider ceux qui ne sont pas en mesure de se faire eux-mêmes des perfusions ou d'appliquer d'autres aspects de l'autotraitement parce qu'ils manquent d'options de traitement. Il peut notamment s'agir de demander aux fabricants de produits de traitement d'aider les êtres humains des pays en voie de développement et de contribuer au Programme d'aide humanitaire de la FMH.

« Mon frère me manque beaucoup. Pendant de nombreuses années, je pensais à lui tous les jours, a déclaré Patrick, au bord des larmes. Redoublons nos efforts pour nos frères et sœurs des pays en voie de développement de façon à ce qu'un jour ils puissent eux aussi avoir une définition privilégiée de l'autotraitement ».

La FMH signe un protocole d'entente avec le Groupe de travail de l'Asie-Pacifique sur l'hémophilie afin de soutenir les professionnels de la santé de la région.

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) collaborera avec le Groupe de travail de l'Asie-Pacifique sur l'hémophilie (GTAPH) pour tenter d'améliorer les soins offerts aux personnes atteintes d'hémophilie et autres troubles de coagulation héréditaires dans la région Asie-Pacifique. Dirigé par Alok Srivastava, MD, le GTAPH est composé de cliniciens qui gèrent

l'hémophilie dans les différents pays de la région.

La phase pilote de cette collaboration débutera cet automne, avec les deux parties qui partageront leurs plans de travail pour 2016 et 2017. Ceci assurera que les travaux de développement effectués dans la région Asie-Pacifique seront complémentaires et qu'ils soutiendront les activités existantes des programmes

de la FMH. L'axe de travail principal du GTAPH sera l'éducation, la formation et la recherche.

La FMH poursuivra ses efforts de sensibilisation dans la région Asie-Pacifique et est persuadée que ce partenariat sera bénéfique pour ceux qui en ont le plus besoin, en faisant avancer notre vision d'assurer un traitement pour tous.

Leçons de la NASA : Qu'est-ce qu'un niveau approprié de risque?

Depuis les années 80, alors qu'environ 10 000 personnes atteintes d'hémophilie ont été testées positives pour le VIH après avoir reçu du sang contaminé, l'évaluation et la gestion du risque sont devenues un principe central pour la communauté des personnes atteintes de troubles de coagulation. Ce principe s'applique non seulement aux réserves de sang qui peuvent être infectées par des virus connus et inconnus mais également au développement de nouveaux produits de traitement.

Lors de la séance plénière de mercredi matin, « *Managing the Risk of Human Space Flight: Lessons From 50 Years of NASA Human Space Flight* » (Gérer le risque des vols spatiaux habités : Leçons tirées de 50 années de vols spatiaux habités de la NASA), Michael Lutomski, ancien gestionnaire des risques de la station spatiale internationale pour la NASA, a déclaré que la communauté des hémophiles et la NASA fonctionnent dans des environnements qui ne peuvent pas tolérer les risques ou les échecs. Malgré tout, le risque est inévitable. Alors, quel est le meilleur moyen de gérer ce type de situations?

Lutomski a déclaré qu'un élément essentiel est la gestion continue des risques. Nous l'appliquons déjà presque tous les jours, a-t-il déclaré, en utilisant l'exemple de choisir un vol pour Orlando afin de participer à ce congrès. Par exemple, vous avez peut-être géré le risque de manquer un vol de correspondance en optant pour un autre vol ayant un délai plus long de correspondance.

Lutomski a également déclaré que la NASA faisait face à un niveau époustouflant de risques, avec un taux d'échec de 3,4 % des lancements d'engins spatiaux chaque année. « Pourriez-vous imaginer traverser la rue ou conduire une automobile avec ce taux de risque? Vous ne le feriez jamais, a-t-il déclaré ».

Malgré tout, Lutomski a déclaré que la perception courante, même à la NASA, était qu'un vol spatial présentait le même niveau de risque que le pilotage d'un avion. Cependant, en 1986, l'explosion de la navette spatiale Challenger a changé cette perception, de la même façon que la crise du SIDA a changé l'idée très répandue selon laquelle les transfusions sanguines étaient essentiellement sûres.

La NASA a réagi à la crise de la navette Challenger en repensant la façon dont elle gérait les risques. Elle a établi un cadre de prise de décision fondé sur les risques ainsi qu'un seuil de risque. Les astronautes signent des déclarations stipulant qu'ils comprennent

les risques tels qu'un taux de mortalité équivalent à un membre d'équipage décédé pour 270 astronautes lors d'une expédition de six mois vers la station spatiale internationale. « Nous avons aujourd'hui une conception beaucoup plus saine et réaliste des risques que nous prenons réellement, a déclaré Lutomski. »

L'auto-évaluation est un des meilleurs moyens de réduire les risques, a déclaré Lutomski. Mais les êtres humains ont de nombreuses raisons de ne pas participer à l'évaluation et à la déclaration des risques. Ils pensent qu'il n'y a aucun risque, que leurs programmes sont trop petits et qu'en rendant les risques publics, un programme pourrait être annulé. Ils pré-



Michael Lutomski compare les risques inhérents à la pratique de la médecine à ceux des opérations aériennes.

fèrent gérer les problèmes au fur et à mesure qu'ils surviennent, considérant que les risques sont de mauvaises nouvelles pour leur carrière et que ce n'est pas leur travail de remplir des formulaires administratifs, ou jugent qu'ils ne sont pas en mesure d'évaluer les risques parce qu'il leur est impossible de prévoir l'avenir.

Non seulement un système de gestion des risques qui fonctionne bien doit surmonter ces préjugés et idées, mais le système doit aussi être modeste et prêt à accepter de nouvelles informations, a déclaré Lutomski. À la NASA, ceci se traduit par un questionnement permanent du rendement, un examen des risques et une réponse appropriée aux pannes ou échecs lorsqu'ils surviennent.

Donateurs du Congrès : Ekawat Suwantaroj

Un des meilleurs souvenirs du Congrès mondial de la FMH de 2016 (Centre de ressources) nous a été offert par Ekawat Suwantaroj, un membre talentueux et souriant de la communauté des personnes touchées par les troubles de la coagulation, venant de Bangkok, en Thaïlande. Ekawat est atteint d'hémophilie A grave. Sa maladie n'empêche pourtant jamais ce garçon talentueux de contribuer à la bonne humeur des personnes qui l'entourent. Il a commencé à faire des caricatures il y a vingt ans déjà et partagé son talent avec les membres de la communauté de la FMH, à l'occasion du Congrès mondial sur l'hémophilie de 2004. Il s'est remis à dessiner cette année pour recueillir des dons pour le Programme d'aide humanitaire de la FMH. En quelques heures seulement, ses efforts ont permis de réunir 600 dollars et ses dessins ont ravi bon nombre de délégués avec une nouvelle version du meilleur d'eux-mêmes.



Notre communauté redonne à la société de diverses façons. Certaines personnes font des heures de bénévolat, d'autres mettent leurs talents au service de la cause et d'autres offrent un soutien financier. Nous sommes ravis qu'Ekawat ait consacré du temps à nous aider à recueillir des fonds en mettant son crayon au service du Programme d'aide humanitaire de la FMH.

Le Programme d'aide humanitaire de la FMH : un changement durable pour les personnes qui en ont le plus besoin

Le succès du Programme d'aide humanitaire de la FMH repose principalement sur la garantie d'un approvisionnement durable et prévisible de produits de traitement. Les preuves de ce succès ont été illustrées durant la séance intitulée « Aide humanitaire : Le traitement pour tous est la vision pour tous » qui s'est tenue mardi matin.

Assad Haffar, directeur de l'aide humanitaire de la FMH a présidé et ouvert la séance en soulignant la réalité de très nombreuses personnes du monde entier vivant avec un trouble de la coagulation. Dans de nombreux pays en voie de développement, le manque d'accès aux traitements constitue un besoin urgent et un défi important de santé publique. Depuis 1996, 322 millions d'UI ont été données à 90 pays, ce qui a permis d'aider directement plus de 100 000 personnes ayant des besoins urgents. Grâce à l'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH, plus de 500 millions d'UI seront désormais données sur une période de cinq ans, assurant ainsi un approvisionnement prévisible et permettant pour la première à la FMH de faire un travail de planification et de prévision.

Megan Adediran, directrice générale de l'Haemophilia Foundation of Nigeria (HFN), a commencé son exposé en expliquant la façon dont son organisation avait été créée. Ce fut le premier don de produits de traitement de la FMH qui l'a incitée à créer la HFN. Le nombre de diagnostics au Nigeria étant en augmentation, il en allait de même du besoin d'accès aux produits de traitement. L'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH a également eu un impact sur la communauté des personnes atteintes de troubles de la coagulation, et ce, bien au-delà de l'offre de produits de traitement pouvant sauver des vies. Avant le début de l'expansion en 2015, seuls 178 patients avaient reçu un diagnostic au Nigeria. Un an plus tard, ce nombre était passé à 271 patients et la rumeur voulant qu'un traitement prévisible soit désormais disponible s'est répandue. « Le Programme humanitaire de la FMH a donné de l'espoir aux familles, a déclaré Adediran. C'est ce que ce programme a été en mesure d'accomplir pour les habitants du Nigeria. »

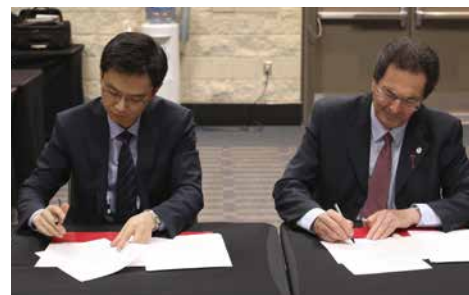


Durant cette séance, chaque présentateur a décrit comment l'amélioration et la durabilité des soins pour ceux qui en ont le plus besoin étaient impératives. Thomas Sannié, président de l'Association française des hémophiles (AFH), a décrit comment son organisation collabore avec la FMH pour améliorer la situation dans les pays francophones de l'Afrique noire par l'intermédiaire de l'Alliance franco-africaine pour le traitement de l'hémophilie (AFATH). « Ce qui nous pousse à agir est une vision que nous partageons avec tous nos partenaires en vue d'offrir un traitement à toutes les personnes souffrant de troubles de la coagulation », a déclaré Thomas Sannié.

Kibet Shikuku, MD, président de la Kenya Haemophilia Association, a souligné à nouveau le besoin relatif au Programme d'aide humanitaire de la FMH. Il a insisté sur le fait que l'éducation et la recherche devaient aller de pair avec les dons.

Étant donné qu'Ahmed Naseer n'a pas pu présenter son exposé lors de cette séance, son hématologue, Shasahi Apte, MD, a décrit le parcours que Naseer a dû accomplir pour pouvoir bénéficier d'une intervention chirurgicale reconstructive du genou. Ce ne fut que grâce à des dons de la FMH que l'intervention fut possible, ce qui démontre encore l'impact du soutien pour les personnes qui en ont le plus besoin.

Pour conclure la séance, Ahmed Naseer a fait la réflexion suivante : « Ensemble, nous pouvons faire en sorte que l'impossible devienne possible ». Pour en savoir plus sur le Programme d'aide humanitaire de la FMH, consultez le site www.treatmentforall.org.



Eun Chul Huh, président de Green Cross et Alain Weill, président de la FMH.

La FMH annonce un accord d'aide humanitaire portant sur plusieurs années avec Green Cross

Le lundi 25 juillet 2016, la Fédération mondiale de l'hémophilie et Green Cross Corporation ont signé un accord de trois ans visant à offrir au Programme d'aide humanitaire de la FMH un total de six millions d'unités internationales (UI) de ses produits de facteur FVIII recombinants.

Le Dr Eun Chul Huh, président de Green Cross, et Alain Weill, président de la FMH, ont signé cet accord lors du Congrès mondial de la FMH à Orlando, en Floride. Avec des dons portant sur plusieurs années, tel que cet engagement de Green Cross, et un approvisionnement stable de produits de traitement pour le réseau de la FMH, les personnes atteintes de troubles de la coagulation dans les pays en voie de développement pourront de plus en plus bénéficier d'un accès au traitement dans des situations d'urgence, en cas d'hémorragies et de chirurgies réparatrices. Par ailleurs, il sera également possible d'administrer la prophylaxie aux jeunes enfants.

« Nous sommes très honorés de cet engagement de Green Cross envers le Programme d'aide humanitaire de la FMH, a déclaré M. Weill. Ce don permettra de corriger les lacunes d'accès à des produits de traitement dans les pays en voie de développement en offrant un accès régulier et prévisible au traitement pour tous. »

Formation mondiale pour les organisations nationales membres (ONM) : Soutenir les communautés aux prises avec des troubles de la coagulation dans le monde entier.

La FMH dirige de nombreuses initiatives visant à soutenir les communautés du monde entier aux prises avec des troubles de la coagulation. Pour ce faire, un de nos programmes clés est la formation mondiale pour les organisations nationales membres (ONM) de la FMH et des ateliers de création de capacité. Ces événements, organisés à l'échelle nationale et régionale, visent à renforcer les connaissances et les compétences des ONM et à les aider à améliorer leur structure interne ainsi que leurs activités et relations extérieures. Ces ateliers sont conçus en tenant compte des besoins des ONM et abordent toute une variété de thèmes importants : les levées de fonds, la résolution de conflits, les femmes atteintes de troubles de la coagulation, la défense de la cause et le travail de lobbying, les relations avec les sociétés pharmaceutiques et la planification d'événements.

Avant chaque congrès mondial de la FMH, cette dernière organise une formation mondiale de trois jours destinée aux organisations nationales membres (ONM). Cette année, la formation s'est tenue du 21 au 23 juillet au *Gaylord Palms Resort and Convention Center*

d'Orlando, aux États-Unis. Le programme couvrait de nombreux sujets d'intérêt pour les ONM, dont la planification stratégique, la mise en œuvre de projets, le développement des soins de l'hémophilie et la formation des bénévoles. Cette formation comprend également des activités sociales effectuées en collaboration et des sessions conjointes avec la *National Hemophilia Foundation (NHF)*. L'événement de 2016 était très spécial; en effet, pour la toute première fois, la FMH organisait une formation mondiale pour les organisations nationales membres (ONM) en même temps que l'Assemblée annuelle de la NHF.

Toutes les formations mondiales pour les organisations nationales membres (ONM) font appel à la participation d'un représentant des patients de chaque ONM de la FMH. La personne sélectionnée participe avec ses pairs du monde entier à des sessions plénières portant sur un sujet spécifique et à des ateliers de formation. L'événement de cette année comprenait également le programme de bourses des jeunes de la FMH. Parmi les 50 soumissions que nous avons reçues des ONM, 21 jeunes ont été sélectionnés. En plus de participer à la formation

mondiale pour les organisations nationales membres (ONM), les candidats sélectionnés du programme de bourses des jeunes ont bénéficié de billets d'avion gratuits pour Orlando, d'une inscription gratuite au Congrès et d'un hébergement gratuit. Ils ont également pu participer comme observateurs à l'Assemblée générale annuelle de la FMH.

En plus de l'aspect de formation des événements destinés aux ONM, il existe également un aspect important de réseautage qui ne peut pas être passé sous silence. Les sessions de formation tendent à être organisées en petits groupes, ce qui signifie que les participants ont eu la possibilité de « briser la glace » avant le début du congrès mondial 2016 de la FMH. De nombreux participants ont déclaré que l'événement de formation des ONM était un excellent moyen pour se faire de nouveaux amis, établir de nouveaux liens et se préparer pour le congrès.

Pour en savoir plus sur la formation mondiale pour les organisations nationales membres de la FMH, consultez la page de formation aux compétences des ONM de la FMH.

Célébration du Programme de jumelage de la FMH au Congrès

L'événement sur le Programme de jumelage de la FMH, qui a eu lieu le 27 juillet lors du Congrès mondial 2016 de la FMH, a offert aux participants une occasion particulière de créer des liens, de partager des connaissances et d'encourager d'autres personnes à se joindre à un mouvement qui associe les centres de traitement de l'hémophilie et les organisations de patients dans les pays développés et en développement.

Ce programme vise à améliorer les soins hémophiliques dans les pays émergents grâce à des partenariats réciproques officiellement reconnus, d'une durée de quatre ans.

À cette occasion, les deux gagnants respectifs 2015 des prix de jumelage de l'année ont fait des présentations. Marion Stolte et Éric Stolte, de la Société canadienne d'hémophilie ont parlé de leur « aventure commune » avec la Société de l'hémophilie du Bangladesh. Hans Hermann-Brackmann, MD, de l'hôpital universitaire de Bonn (Allemagne) a pour sa

part présenté « l'histoire en images » de son partenariat avec l'hôpital universitaire St. Marina (Varna, Bulgarie).

Avec une discussion en groupe dirigée par Sharon Caris, présidente du Comité de jumelage des organisations de l'hémophilie de la FMH et des observations faites par Alain Weill, président de la FMH, l'événement était en outre l'occasion de souligner le 15^e anniversaire du parrainage du Programme par Pfizer. Michael Goettler, président de Pfizer – maladies rares pour Global Innovative Pharma Business a fait



part de sa fierté d'appuyer un programme qui a toujours d'importantes répercussions positives sur la communauté mondiale des personnes touchées par les troubles de la coagulation.

Durant l'événement et le Congrès, bon nombre de liens entre pairs ont été créés et la FMH se réjouit de soutenir la mise sur pied de nouveaux jumelages, dans les prochaines années.

Le Programme de jumelage bénéficie de l'appui financier exclusif de Pfizer.

Cérémonie de remise de prix : reconnaître le travail des personnes qui contribuent à faire changer les choses

La cérémonie de remise de prix de la FMH, qui s'est tenue lors du Congrès mondial 2016 de la FMH, reconnaît les personnes qui ont été une source d'inspiration pour nous tous en offrant généreusement et avec passion des heures de travail et de l'expertise à la communauté des personnes atteintes de troubles de coagulation héréditaires et à la FMH.



PRIX

Prix Inga Marie Nilsson

Ce prix est décerné à un ou deux bénévoles de la FMH qui ont contribué à l'amélioration des soins hémophiliques, de leur propre initiative et en proposant de nouvelles idées et projets.

Prix Henri Chaigneau

Ce prix récompense des travaux de recherche, permettant de faire progresser les connaissances concernant la pathologie, le traitement ou la prévention des troubles de la coagulation.

Prix annuel de jumelage des organisations de l'hémophilie

Ce prix reconnaît les jumelages qui ont contribué à améliorer les soins hémophiliques en renforçant et en développant les organisations hémophiles grâce au transfert de compétences, de ressources et d'informations.

Prix annuel de jumelage des centres de traitement de l'hémophilie

Ce prix reconnaît les jumelages qui ont contribué à améliorer les soins hémophiliques en renforçant et en développant les centres de traitement de l'hémophilie grâce au transfert de compétences, de ressources et d'informations.

REMIS À

Frederica Cassis

Professeur Thierry Vandendroessche Professeure Marinee Chuah

2014 - **Associacion Nicaragüense de Hemofilia et la section québécoise de la Société canadienne d'hémophilie (SCH)**, représentées par Denis Antonio Martinez Artola et Antonio Rivas Javier Ojeda de l'Associacion Nicaragüense de Hemofilia, et Patricia Stewart et François Laroche de la section québécoise de la Société canadienne d'hémophilie.

2015 - **La Société de l'hémophilie du Bangladesh (SHB) et la Société canadienne d'hémophilie (SCH)**, représentées par Mohiuddin Khan, de la Société de l'hémophilie du Bangladesh et Marion Stolte, de la Société canadienne d'hémophilie.

2014 - **Arequipa (Pérou) et Los Angeles (États-Unis)**, représentées par Willy Quinones de Hospital Nacional Carlos Alberto Seguin Escobeldo, et Guy Young de l'hôpital pour enfants de Los Angeles

2015 - **Varna (Bulgarie) et Bonn (Allemagne)**, représentées par la professeure Valeria Kaleva du St. Marina University Hospital of Varna et Anni Pavlova, professeure Johannes Oldenburg, Christine Brackmann et Hans-Hermann Brackmann de l'hôpital universitaire de Bonn



WFH 2016 AWARDS CEREMONY

Join us to celebrate the WFH's most prestigious awards

ORANGE COUNTY CONVENTION CENTRE
July 28, 2016
Room 205
12:15 to 13:30



PRIX

Prix commémoratif Henri Horoszowski

Ce prix vise à inciter les spécialistes en musculo-squelettique à s'orienter sur les soins hémophiliques.

Bourse d'études du Fonds commémoratif Susan Skinner

Établie pour créer une fondation visant à soutenir la formation et l'éducation de jeunes femmes ayant un trouble de la coagulation.

Subvention pour la recherche clinique de la FMH

Offre du soutien pour la recherche clinique internationale associée aux troubles de la coagulation héréditaires.

Prix jeunes chercheurs

Ce prix est décerné aux chercheurs qui ont présenté des résumés très bien notés dans toute discipline concernant l'hémophilie et divers autres troubles de la coagulation connexes.

Prix international de bénévolat en soins de santé

Ce prix rend hommage à un professionnel de la santé qui a considérablement contribué à faire avancer la mission et les objectifs de la FMH grâce à son travail bénévole.

Prix international de bénévolat Frank Schnabel

Ce prix est décerné à une personne atteinte d'hémophilie ou à un proche d'une personne atteinte d'hémophilie, qui a considérablement contribué à faire avancer la mission et les objectifs de la FMH.

REMIS À

Fabio Souza

2015 - **Michelle Cecil** et **Joelle Palmatier**

2016 - **Ashley Taylor-Fowlie** et **Claudia Teresa Peña Villena**

2015 - **Victor Jiménez-Yuste**, **Marzia Menegatti**, **Silvia Riva** et **Jonathan C. Roberts**

2016 - **Arijit Biswas**, **Hervé Chambost** et **Yves Guillaume**

Mahasen Saleh
Christopher Mwaniki
Jamie O'Hara
Shannon Jackson
Lakshmi Srivaths

Aarti Shah
Lisette M. Schütte
Kristina Kihlberg
Fabio Souza
Pu-Lin Luo

Lily Heijnen

Mark Skinner





De gauche à droite – Mark Skinner (président de la FMH aux États-Unis), Maria Manahan (présidente de la Hemophilia of Georgia), Alain Weill (président de la FMH), Val Bias (chef de la direction de la National Hemophilia Foundation), Alain Baumann (chef de la direction de la FMH) et Jorge Della Riva (président de la National Hemophilia Foundation).

Appuyer fièrement la communauté mondiale

Honorée et inspirée par l'esprit de générosité imprégnant le Congrès mondial 2016 de la FMH et l'Assemblée annuelle de la National Hemophilia Foundation (NHF), l'Équipe de ressources philanthropiques souhaite remercier haut et fort les centaines de patients, de professionnels de la santé et de bénévoles qui se sont arrêtés au Centre de ressources de la FMH lors du Congrès. Nous sommes ravis d'avoir pu rencontrer tant de nouveaux amis!

Nous remercions les 368 donateurs provenant de 92 pays qui ont appuyé le Programme d'aide humanitaire de la FMH et ont fait leur marque sur la scène internationale de la FMH. Votre générosité, qui ignore les frontières, s'étend du Nigeria au Costa Rica et vos contributions représentent une marque de confiance pour le travail que nous accomplissons au quotidien dans la quête de notre vision commune d'un traitement pour tous. Nous adressons également nos remerciements aux plus de 750 participants qui ont renouvelé leur adhésion à la FMH ou qui sont devenus membres pour la toute première fois; sachez que nous sommes ravis de pouvoir communiquer avec vous dans les prochains mois.

Nous remercions les 28 sections de la FMH qui ont répondu à l'appel visant à devenir des champions du Programme d'aide humanitaire de la FMH et ont amassé un montant de 139 800 \$ pour soutenir la FMH des États-Unis. Nous aimerions tout

particulièrement souligner le travail accompli par nos deux champions fondateurs : la National Hemophilia Foundation et l'Hemophilia of Georgia, Inc. et leurs dirigeants Val Bias et Maria Monahan, qui ont grandement contribué à la réussite de nos résultats actuels.

Nous tenons plus que tout à remercier les patients et les dirigeants faisant partie de la communauté mondiale des personnes touchées par les troubles de la coagulation. Pour poursuivre notre travail en votre nom, nous puisons notre énergie à même la persévérance et l'optimisme dont ils font preuve pour relever les immenses défis auxquels ils sont confrontés. Nous sommes fiers de travailler avec eux afin d'avoir, à l'échelle mondiale, un impact positif sur la vie des personnes atteintes d'un trouble de la coagulation, peu importe où elles vivent.

Nous vous invitons à devenir un donateur du congrès en faisant un don en ligne à l'adresse www.wfh.org/donate.

Événement conjoint : Centres internationaux de formation en hémophilie – Explorer le monde – Des solutions concrètes

Lors du Congrès mondial 2016 de la FMH, une réunion tout à fait particulière a eu lieu; elle visait à présenter des solutions concrètes et à en discuter. Il s'agissait d'un événement conjoint offert dans le cadre des programmes de bourses des centres internationaux de formation en hémophilie et d'Explorer le monde. Les participants faisaient partie de l'International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH) et de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH).

L'événement, présenté sous forme d'une discussion de groupe avec un animateur et de tables rondes, a permis aux participants – tant les formateurs que les diplômés des programmes de bourses des Centres internationaux de formation en hémophilie et d'Explorer le monde – de rencontrer en personne leurs pairs du monde entier et d'avoir des débats productifs sur la façon de mieux faire connaître l'importance de renforcer l'autonomie des professionnels de la santé par l'éducation et la formation. Mike Makris, MD, président sortant du Comité des centres internationaux de formation en hémophilie animait cette activité. Parmi les panélistes, mentionnons Philippe de Moerloose, MD, et Evelien Mauser-Bunschoten, MD, (formateurs) et Zhenping Chen, MD, et Cesar Haddad (diplômés). Cette initiative visait à réunir deux programmes influents de leadership et de renforcement des capacités et à souligner le succès des diplômés sur le plan de l'amélioration des soins dispensés aux patients atteints de troubles de la coagulation dans leurs pays.

Des participants de plus de 20 pays, ayant d'une manière ou d'une autre contribué ou pris part aux programmes de bourses allouées à la formation (Centres internationaux de formation en hémophilie et Explorer le monde), ont participé aux discussions. Les animateurs ont posé plusieurs questions visant à susciter des discussions positives, notamment les questions suivantes : « Quels ont été les points saillants de votre formation lors du programme de bourses? », « Quelles seraient, pour les prochaines personnes, les choses utiles à apprendre dans le cadre d'un programme de bourses? » et « Que feriez-vous différemment ou quels sont les éléments qui devraient être améliorés pour les futurs stagiaires? »

Une séance de réseautage a conclu l'événement. Bon nombre de participants ont indiqué qu'au terme de l'événement, ils avaient le sentiment d'avoir grandement contribué à faire changer les choses dans le monde de l'hémophilie, de la thrombose et de l'hémostase, en ayant pris part aux programmes de bourses des Centres internationaux de formation en hémophilie et d'Explorer le monde. Les participants ont également senti que, tant pour eux que pour les prochains participants aux programmes, l'amélioration et le perfectionnement supplémentaires étaient imminents.

La FMH aimerait remercier Bayer pour l'appui exclusif offert dans le cadre du programme des Centres internationaux de formation en hémophilie.



Lancement de la plateforme d'apprentissage électronique de la FMH : un guichet unique pour accéder facilement à toutes les ressources sur les troubles de la coagulation

La FMH est fière d'annoncer le lancement, lors du Congrès mondial 2016, d'une avancée majeure concernant les ressources éducatives destinées à la communauté des personnes touchées par les troubles de coagulation : la plateforme d'apprentissage électronique de la FMH. Conçu en vue d'appuyer l'éducation à l'échelle mondiale, ce portail d'apprentissage met le contenu et les outils proposés à portée de main de toute personne disposant d'un ordinateur ou d'un dispositif mobile et d'une connexion Internet.

La FMH est fière d'annoncer le lancement d'une avancée majeure concernant ses ressources éducatives destinées à la communauté des personnes touchées par les troubles de coagulation : la plateforme d'apprentissage électronique de la FMH. Conçu en vue d'appuyer l'éducation à l'échelle mondiale, ce portail d'apprentissage met le contenu et les outils proposés à portée de main de toute personne disposant d'un ordinateur ou d'un appareil mobile et d'une connexion Internet.

La plateforme d'apprentissage électronique de la FMH rassemble au sein de huit centres d'apprentissage à thème des renseignements préliminaires et des ressources plus approfondies portant sur les sujets suivants : troubles de coagulation héréditaires, introduction à l'hémophilie, porteuses et femmes hémophiles, inhibiteurs, prophylaxie, maladie de von Willebrand, déficit en facteurs de coagulation rares et dysfonctions plaquettaires héréditaires. Ce regroupement facilite grandement l'accès aux nombreuses ressources précieuses que la FMH offre à la communauté des personnes touchées par les troubles de coagulation.

Les demandes de recherche filtrées concernant les centaines de ressources que contient la collection de la FMH complètent les centres d'apprentissage électronique. Les recherches peuvent être restreintes selon la catégorie (article, ouvrage, fiche d'information, etc.), le type de ressource (webinaire, affichage électronique, vidéo, etc.), l'auteur ou la langue. Les recherches par mot clé, sur Google notamment, sont évidemment très faciles à faire.

Les utilisateurs peuvent en outre utiliser un excellent outil interactif de navigation pour trouver des ressources, outil qui leur permet d'explorer le contenu des ressources au moyen des six piliers du modèle de développement complet, à savoir : le soutien du gouvernement, l'administration des soins, l'expertise médicale (notamment l'expertise pluridisciplinaire), les produits de traitement, les associations de patients, la collecte de données et les recherches réalisées sur les résultats. Qui plus est, la plateforme indique aux utilisateurs que des documents récents ont été ajoutés et leur donne même un aperçu des renseignements qui sont le plus consultés par les autres utilisateurs.

« La FMH est déterminée à soutenir la communauté des personnes touchées par les troubles de la coagulation à l'échelle internationale », explique Alain Weill, président de la FMH. « Un des meilleurs moyens d'offrir cet appui consiste à fournir facilement accès aux ressources éducatives, notamment par l'intermédiaire d'explications en images pour un enfant qui vient d'être diagnostiqué, de démonstrations techniques qui aident un chercheur de laboratoire à faire correctement un test de diagnostique ou d'un module qui donne vie au contenu complexe des Lignes directrices sur la prise en charge et qui s'adresse aux défenseurs des droits des patients et aux professionnels de la santé. La nouvelle plateforme d'apprentissage électronique de la FMH offre tout cela en permettant à tous d'accéder facilement à nos ressources éducatives sur les troubles de la coagulation ».

Les outils offerts couvrent presque tout ce qu'une personne œuvrant dans le domaine des troubles de la coagulation a besoin de savoir; on y trouve notamment des modules interactifs sur les lignes directrices pour la prise en charge de l'hémophilie de la FMH, un manuel de laboratoire, un registre en ligne des facteurs de coagulation, une introduction à l'hémophilie en images et un compendium d'outils d'évaluation.

La plateforme d'apprentissage électronique possède des fonctions extrêmement efficaces qui permettent à l'utilisateur, une fois qu'il a trouvé le contenu éducatif qu'il désire explorer, d'accéder exactement à ce qu'il cherche, rapidement et facilement. Ainsi, les vidéos de démonstration du manuel de laboratoire sont accompagnées de transcriptions interrogeables complètes et offrent la possibilité de consulter instantanément des sections spécifiques de la vidéo qui correspondent aux mots clés recherchés.

La plateforme d'apprentissage électronique a été lancée officiellement durant le Congrès mondial 2016 de la FMH et les délégués pouvaient la tester au Centre de ressources de la FMH. Des centaines de ressources éducatives sont déjà accessibles et du nouveau contenu est constamment ajouté à la plateforme. Consultez le site eLearning.wfh.org dès maintenant pour consulter la plateforme et en apprendre plus sur les divers sujets d'intérêt liés aux troubles de la coagulation.



Assemblée générale annuelle 2016 de la FMH

L'Assemblée générale annuelle 2016 de la FMH s'est tenue le 29 juillet, juste après la fin du Congrès mondial 2016 de la FMH; la réunion a porté sur divers sujets d'intérêt pour les membres et intervenants de la FMH.

Nous avons modifié la fréquence des réunions de l'Assemblée générale de la FMH, qui sont passées d'une réunion tous les deux ans à une réunion par an afin de nous conformer à la nouvelle *Loi canadienne sur les organisations à but non lucratif*. Afin que le processus soit le plus efficace possible pour toutes les personnes concernées, la FMH planifiera une assemblée annuelle virtuelle et innovante lors des années où il n'y aura pas de congrès. Les réunions en personne se poursuivront lors des années de congrès.

La FMH accueille huit nouvelles organisations membres, pour un total de 134 organisations nationales membres (ONM). Le Japon et le Suriname sont désormais des ONM à part entière. Le Burkina Faso, El Salvador, Madagascar, le Malawi, le Myanmar et la Namibie ont été ajoutés en tant qu'organisations nationales membres associées.

Alain Weill a été réélu président de la FMH et plusieurs autres candidats ont été nommés au Conseil d'administration. Pour en savoir plus sur les nouvelles personnes qui se sont jointes à l'équipe du Conseil, nous vous invitons à lire l'article du bulletin du monde de l'hémophilie intitulé « Conseil d'administration de la FMH : Merci aux membres sortants et bienvenue aux nouveaux membres du Conseil d'administration ».

Alain Weill - président, Eric Stolte - vice-président des finances, Marijke van den Berg, MD, - vice-présidente médicale et Alain Baumann, chef de la direction ont tous présenté les faits saillants de leurs rapports respectifs de l'Assemblée annuelle de la FMH. Les présentations faisaient un constat commun général : La FMH réalise d'importants progrès au titre de l'aide dans les pays en développement et en ce qui concerne le développement des formations et du soutien dispensés à l'échelle mondiale.

Le lieu du Congrès mondial de la FMH de 2022 a été annoncé dans l'après-midi, durant la séance de l'Assemblée annuelle 2016. Jens

Bungardt, directeur du Congrès et des réunions et Alain Weill ont expliqué les défis que devra bientôt relever la FMH. Deux principales questions ont été discutées. Tout d'abord, l'International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH) participera à l'Assemblée annuelle en 2020, ce qui signifie que tous les deux ans, il y aura deux réunions importantes portant sur les troubles de coagulation héréditaires. Alain Weill a indiqué à cet égard que la FMH doit élaborer un plan stratégique visant à orienter l'organisation dans le contexte évolutif qui prévaut.

Le second problème est le fait qu'aucune des éventuelles destinations finalistes du congrès n'ont pu faire de propositions garantissant la continuité et le développement futur de la FMH. Jens Bungardt a comparé les coûts projetés des propositions reçues lors des congrès précédents – notamment le Congrès mondial qui s'est tenu à Melbourne en 2014 et le Congrès mondial qui a eu lieu à Orlando en 2016 – et clairement démontré que les coûts associés aux villes candidates étaient très élevés comparativement à ceux s'appliquant à tous les autres lieux choisis par la FMH au cours de la dernière décennie.

Par conséquent et conformément à l'Article 23.1 « Congrès mondiaux et régionaux » portant sur les statuts et les règlements de la FMH, le Conseil de la FMH a exercé son droit de choisir la destination qui répondrait au mieux aux besoins et aux objectifs de l'ensemble des intervenants et de la communauté de la FMH, et procurerait à la FMH les ressources nécessaires pour s'acquitter de sa mission.

Le Conseil, après avoir longuement délibéré et analysé la situation, a annoncé que la ville de Montréal au Canada avait été retenue pour accueillir le Congrès mondial de 2022. Bon nombre d'ONM ont formulé de précieux commentaires, tant favorables que défavorables au choix, et dans l'esprit d'un traitement pour tous, une motion visant à garantir l'appui au choix du Conseil pour le lieu du Congrès de 2022, a été présentée. Le vote a permis de trancher en faveur de la décision d'organiser le Congrès à Montréal. Le Conseil tient à remercier les ONM – et toutes les personnes qui ont participé à l'Assemblée générale – pour leurs commentaires, leur participation au processus et la passion qu'elles vouent à la mission de la FMH.

L'Hemophilia Alliance soutient la formation continue des professionnels de la santé américains

La FMH États-Unis a le plaisir d'annoncer le premier versement des subventions de voyage de l'*Hemophilia Alliance* qui prendront effet cette année au moment du Congrès mondial 2016 de la FMH. Cette subvention permettra de perfectionner l'art et la science des soins infirmiers en matière de troubles de la coagulation, du travail psychosocial, de la médecine dentaire, de la physiothérapie et des sciences de laboratoire. Financée par le soutien généreux de l'*Hemophilia Alliance*, une subvention annuelle de 15 000 \$ sera attribuée pour soutenir les échanges scientifiques et l'apprentissage au niveau mondial grâce à la participation à des assemblées internationales de la FMH d'un membre américain d'une sélection de comités multidisciplinaires de la FMH.

Conseil d'administration de la FMH : accueillir les nouveaux membres, remercier les membres sortants

Le 29 juillet 2016, l'Assemblée générale annuelle de la FMH a eu lieu à Orlando, en Floride. À cette occasion, les organisations nationales membres de la FMH ont élu les candidats au conseil d'administration 2016-2018 et au poste de président de la FMH. À cette élection, chaque candidat avait un ensemble unique de compétences à apporter, mais ce qui était le plus inspirant pour les participants, c'est le fait que chaque candidat a manifesté le même engagement à l'égard de la FMH et la même volonté d'agir de manière bénévole en faveur du traitement pour tous.

Alain Weill a été réélu pour un second mandat au poste de président de la FMH. Deon York, Magdy El Ekiaby et Glenn Pierce ont également été réélus. Les nouveaux venus au conseil d'administration sont Carlos Safadi (Argentine) et Predrag Mikov (Serbie).

La FMH tient à remercier tous les membres sortants du conseil d'administration pour l'engagement dont ils ont fait preuve à l'égard de notre organisation et de la communauté internationale des personnes touchées par les troubles de la coagulation. Le dévouement et les efforts de ces membres ont contribué à plusieurs des réalisations récentes de notre organisation, notamment au grand succès du

Congrès mondial 2016 de la FMH qui s'est déroulé à Orlando en juillet.

Nous tenons également à remercier les nombreux candidats à ces postes qui avaient tous de solides compétences et ont fait preuve d'un grand engagement à l'égard de la FMH. Au nom de notre communauté, nous souhaitons la bienvenue aux nouveaux membres du Conseil. Nous vous remercions de prendre part à notre mission au service de la communauté des personnes touchées par les troubles de coagulation et de commencer d'ores et déjà à planifier notre prochain Congrès qui aura lieu à Glasgow en 2018.

LE CONSEIL D'ADMINISTRATION DE LA FMH 2016-2018

Alain Weill
Président
France

Marijke van den Berg, MD
Vice-présidente, Médical
Pays-Bas

Eric Stolte
Vice-président, Finances
Canada

Magdy El Ekiaby, MD
Membre, Médical
Égypte

Jerzy Windyga, MD
Membre, Médical
Pologne

Cesar Garrido
Membre non professionnel
Venezuela

Carlos Safadi
Membre non professionnel
Argentine

Glenn Pierce, MD
Membre, Médical
États-Unis

Flora Peyvandi, MDi
Membre, Médical
Italie

Predrag Mikov
Membre non professionnelle
Serbie

Deon York
Membre non professionnel
Nouvelle-Zélande

CO-OPTÉS

Saliou Diop, MD
Membre, Médical
Sénégal

Barry Flynn
Membre non professionnel
R.-U.



WFH 15TH INTERNATIONAL MUSCULOSKELETAL CONGRESS

Seoul, Republic of Korea
May 5-7, 2017



WFH

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

JOURNÉE
MONDIALE DE
L'HÉMOPHILIE
2016

17 AVRIL



Édifice Helmsley,
New York, États-Unis

Tour Bell
Perth, Australie



Tour Ostankino
Moscou, Russie



COSI, Columbus,
Ohio, États-Unis



Story Bridge,
Brisbane, Australie



La journée mondiale de l'hémophilie bénéficie du soutien financier de : Bayer, CSL Behring, Novo Nordisk, Precision BioLogic, Roche et Sobi

Chutes du Niagara
Ontario, Canada



Remerciements

Aux commanditaires et aux personnes qui nous soutiennent et se sont engagés à contribuer à la mission du traitement pour tous.

MÈCÈNE

Jan Willem André de la Porte

CONTRIBUTIONS ANNUELLES SANS RESTRICTIONS

Alnylam Pharmaceuticals

Bayer

Biogen

BioMarin Pharmaceutical Inc

Biotest

CSL Behring

F. Hoffmann-La Roche Ltd

Gilead Science

Green Cross

Grifols

Kedrion

LFB

Novo Nordisk

Octapharma

Pfizer

Precision BioLogic

Shire

SOBI

uniQure

DEUXIÈME DÉCENNIE DE L'ALLIANCE MONDIALE POUR LE PROGRÈS (AMP)

Partenaire visionnaire

Shire

Partenaire principal

CSL Behring

Partenaire collaborateur

Bayer

Biogen

Biotest

Grifols

Kedrion

Novo Nordisk

Pfizer

SOBI

PROGRAMMES PARRAINÉS

Programme de jumelage

Pfizer

Programme international
d'évaluation externe de la qualité
(IEQAS)

Novo Nordisk Haemophilia
Foundation

Programmes de bourses des
centres internationaux de
formation en hémophilie
Bayer

Programme de recherche de la
FMH

Bayer

Grifols

Hemophilia Center of Western
Pennsylvania 340B Program
Shire

Centres d'apprentissage en ligne
de la FMH :

Commanditaire visionnaire
Shire

Commanditaire donateur
Inhibitor: F. Hoffmann-La Roche
Ltd, Shire

Projets de localisation du site

Web :

Arabe : Pfizer

Japonais : Biogen

Russe : SOBI

Chinois simplifié : Bayer

Programme d'aide humanitaire de
la FMH

Bayer

Biogen-SOBI

Biotest

CSL Behring

Grifols

Precision BioLogic

Shire

Autres programmes commandités
Collecte et utilisation des données
durant l'atelier de formation sur les
troubles de la coagulation: Shire

Prix Inga Marie Nilsson :

Octapharma

Fonds commémoratif Susan

Skinner : Hemophilia Alliance
Foundation

Atelier consacré à la maladie de
von Willebrand : LFB

Atelier de développement des
jeunes leaders :F. Hoffmann-La
Roche Ltd

Journée mondiale de l'hémophilie

Bayer, CSL Behring, F. Hoffmann-La
Roche Ltd, Novo Nordisk,
Precision BioLogic, SOBI

AUTRES DONATEURS

340B Factor Program at Akron
Children's HTC

Association française des
hémophiles*

Colorado Chapter of the National
Hemophilia Foundation

Eastern Pennsylvania Chapter

Florida Hemophilia Association

Fondazione Angelo Bianchi Bonomi
Hemophilia Foundation of Greater
Florida, Inc.

Hemophilia Foundation of
Minnesota/Dakotas

Hemophilia Foundation of Northern
California

Hemophilia Foundation of Oregon

Hemophilia of Georgia

Hemophilia of Iowa, Inc.

Hemophilia of South Carolina

LA Kelley Communications, Inc.

Lubrizol Foundation

Mary M. Gooley Hemophilia Center

National Hemophilia Foundation
(USA)*

Phillips 66

Pierce Douglas Living Trust

Rocky Mountain Hemophilia &
Bleeding Disorders Association

* La FMH est fière de reconnaître le
soutien de ses organisations
nationales membres

Calendrier

Conférence annuelle du Consortium européen de l'hémophilie

7-9 octobre 2016

Stavanger, Norvège

Courriel : office@ehc.eu

www.ehc.eu

3^e Congrès sur les controverses dans le domaine de la thrombose et de l'hémostase

8^e Conférence russe sur l'hémosta-
siologie et l'hémoréologie cliniques
20-22 octobre 2016

Moscou, Russie

Tél. : +7 (495) 646 01 55

Télé : +7 (495) 960 21 91

Courriel : apoziturina@ctogroup.ru

<http://cith2016.ru/en/>

IPFA – 2^e atelier asiatique sur la qualité du plasma et l'approvisionnement

2-3 mars 2017

Yogyakarta, Indonésie

Tél. : +31 20 512 3561

Courriel : info@ipfa.nl

www.ipfa.nl/events

Rencontre avec l'Association espa- gnole sur l'hématologie

20-21 avril 2017

Buenos Aires, Argentine

www.acamedbai.org.ar/iilhema.php

IPFA/PEI – 24^e atelier international sur la surveillance et le dépistage des pathogènes transmissibles par le sang

Pathogens

16-17 mai 2017

Zagreb, Croatie

Tél. : +31 20 512 3561

Courriel : info@ipfa.nl

www.ipfa.nl/events

IPFA/BCA – 3^e Symposium mondial sur l'avenir des dons de sang et de plasma-12 septembre 2017

Atlanta, Géorgie, États-Unis

Courriel : info@ipfa.nl

www.ipfa.nl/events

LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE VEUT DE VOS NOUVELLES!

Les activités des personnes atteintes d'hémophiles et d'autres troubles de la coagulation héréditaires et de leurs organisations jouent un rôle important pour chaque membre de la communauté internationale des personnes touchées par les troubles de la coagulation. Nous souhaitons recevoir des histoires, des lettres et des suggestions d'articles. Veuillez les adresser aux personnes suivantes :

Michel Semienchuk, rédacteur en chef

Le monde de l'hémophilie

Fédération mondiale de l'hémophilie

1425, boul. René-Lévesque Ouest, bureau 1010

Montréal, Québec H3G 1T7 Canada

Courriel : msemienchuk@wfh.org

RÉALISATIONS DU PROGRAMME D'AIDE HUMANITAIRE DE LA FMH DEPUIS SA CRÉATION EN 1996 :

90
PAYS
CONCERNÉS

420,000,000+
UI DISTRIBUÉES

100,000+
PERSONNES
AIDÉES



Dans les pays en développement, le manque d'accès aux soins et aux traitements est un problème de santé publique urgent et d'importance majeure étant donné que le coût des produits de traitement est prohibitif pour la plupart des personnes aux prises avec un trouble de la coagulation. La FMH a pris la tête des initiatives visant à résoudre ce problème d'accès, en fournissant un accès constant et prévisible à un traitement pour tous.

Pour en savoir plus, consultez le site
www.treatmentforall.org



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