

Résumé

L'hémophilie est une maladie rare, complexe à diagnostiquer et à prendre en charge. S'appuyant sur des données probantes, ces lignes directrices fournissent des recommandations pratiques en matière de diagnostic et de prise en charge générale de l'hémophilie, et ses complications, notamment les problèmes relatifs à l'appareil locomoteur, les inhibiteurs, et les infections transmises par transfusion. En compilant ces lignes directrices, la Fédération mondiale

de l'hémophilie souhaite aider les prestataires de soins de santé désireux de mettre en place ou de poursuivre des programmes de soins à l'intention des hémophiles, encourager l'harmonisation des pratiques dans le monde et, promouvoir la réalisation d'études appropriées dans les pays où les recommandations ne sont pas suffisamment étayées par des données probantes.

Introduction

La première édition de ces lignes directrices, publiée en 2005 par la Fédération mondiale de l'hémophilie a atteint son objectif d'être utile pour quiconque à la recherche de renseignements fondamentaux sur la prise en charge globale de l'hémophilie. Diverses raisons expliquent le besoin de révision. Parmi les plus importantes, il fallait intégrer les meilleures données probantes existantes sur lesquelles reposaient les recommandations. Les récentes données de qualité tirées des essais cliniques randomisés établissent l'efficacité et la supériorité du remplacement prophylactique du facteur antihémophilique par rapport au traitement épisodique, même si la posologie et le schéma prophylactiques continuent de faire l'objet d'autres recherches. Par ailleurs, la nécessité de mieux évaluer les résultats en matière de soins hémophiliques à l'aide d'instruments clinimétriques propres à la maladie, validés et récemment mis au point est davantage reconnue. Cette nouvelle version traite de ces questions, en plus de mettre à jour toutes les parties.

Ces lignes directrices comportent plusieurs recommandations relatives à la prise en charge clinique des hémophiles (énoncés de pratiques, **en caractère gras**). Tous ces énoncés s'appuient sur les meilleures données probantes qui existent dans la littérature médicale, lesquelles ont été classées selon le *Centre for Evidence-Based Medicine* à Oxford en 2011 (consulter l'annexe 1). Dans la mesure du possible, nous avons également inclus les références de recommandations qui ne relèvent pas de la sélection des énoncés de pratiques. Ces références n'ont pas été classées.

Lors de l'élaboration de ce document, nous nous sommes souvent posé la question de son applicabilité universelle, étant donné la diversité des services de santé et des systèmes économiques du monde. Nous sommes

fortement convaincus que les principes de prise en charge de l'hémophile sont identiques dans les quatre coins du monde. Les différences concernent principalement la posologie des concentrés de facteurs de coagulation (CFC) servant à traiter ou à prévenir les hémorragies, car les coûts des produits de remplacement constituent les dépenses les plus importantes des programmes de soins hémophiliques. Conscientes de cette réalité, ces lignes directrices continuent d'inclure deux ensembles de doses recommandées pour la thérapie de remplacement des CFC. Ces recommandations s'appuient sur les publications et les pratiques des grands centres de soins hémophiliques du monde. Toutefois, il convient de reconnaître que les doses inférieures recommandées ne permettent pas d'obtenir les meilleurs résultats possibles. Ils doivent plutôt servir de point de départ dans le cadre de la prise en charge dans les pays où les ressources sont insuffisantes, et ce, afin de changer progressivement vers des doses plus optimales, en fonction des données et de la meilleure disponibilité des CFC.

La première édition de ces lignes directrices a été grandement acceptée en partie, grâce à la facilité de son format de lecture. Tout en améliorant le contenu et la portée du document, nous nous sommes assuré que le format reste identique. Nous espérons que ce document sera aussi utile pour les personnes désireuses de mettre en place ou de poursuivre les programmes de soins hémophiliques. Par ailleurs, l'examen approfondi de la documentation ainsi que le large consensus sur lequel les énoncés de pratiques ont été formulés peuvent encourager l'harmonisation des pratiques dans le monde. Qui plus est, nous espérons que ce document incitera les études appropriées là où les données probantes adéquates font défaut.