

LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE

www.wfh.org | www.hemophiliaworld.org

DANS CE NUMÉRO

Neuvième Forum mondial
de la FMH

Programme diversifié et innovant
vous attend au Congrès mondial

Leadership en formation : un
conte d'Afrique du Sud

La surveillance internationale,
la clé pour comprendre les
inhibiteurs



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

L'EXPANSION DU PROGRAMME D'AIDE HUMANITAIRE DE LA FMH: SÉNÉGAL

Transformer la vie de ceux qui
en ont le plus besoin

pages 8 et 9





Un programme diversifié et innovant : Congrès mondial 2016 de la FMH



Le Congrès mondial 2016 de la FMH se déroulera du 24 au 28 juillet 2016 à Orlando. Cet événement constitue une plateforme mondiale unique servant à partager l'expérience et les connaissances sur le traitement et la prise en charge de l'hémophilie et des autres troubles de coagulation héréditaires. La FMH est ravie d'organiser cet événement en collaboration avec la National Hemophilia Foundation (NHF) qui fait office d'hôte généreux.

/ Helene Fasciano Lussier, GESTIONNAIRE DES CONGRÈS ET DES RÉUNIONS DE LA FMH

Les comités des programmes 2016 de la FMH ont fait preuve, à tous les échelons, d'un excellent niveau de coopération afin de garantir que le programme représente bien la communauté mondiale des troubles de coagulation. Le programme répond à un large éventail d'intérêts et d'expertise, aussi bien pour les patients que pour les cliniciens experts.

En tout, il y aura dix séances consacrées au perfectionnement professionnel, dix séances plénières, deux séances portant sur les plus récents essais, cinquante-deux séances du Congrès ainsi que douze séances sur les articles libres basés sur les abrégés.

Le Congrès démarrera le dimanche 24 juillet par des séances et des ateliers de perfectionnement professionnel d'une journée et d'une demi-journée. Outre les séances habituelles consacrées aux soins infirmiers, à la santé psychosociale, à l'orthopédie et à la physiothérapie, les comités de la FMH ont mis au point de toutes nouvelles présentations passionnantes cette année.

Le comité des infirmières et infirmiers et le comité sur la santé psychosociale de la FMH démarreront chacune de leur séance respective par une séance combinée de deux heures et demie sur le conseil génétique. Le comité des sciences de laboratoire de la FMH et le comité chargé de la mvW et des coagulopathies rares ont également combiné leurs efforts pour mettre en place un atelier de trois heures consacré aux questions actuelles relatives au diagnostic et à la prise en charge de la MvW. L'atelier sur la recherche et l'épidémiologie et l'atelier sur les données et la démographie comptent parmi les nouveaux ateliers mis en place.

Une séance plénière générale ouvrira chacune des journées du Congrès, soit du lundi au jeudi. La FMH a le plaisir d'annoncer la présence de l'ancien responsable des risques de la NASA International Space Station (ISS), Michael Lutomski, invité à titre de conférencier spécial cette année pour animer la séance plénière qui aura lieu le mercredi 27 juillet 2016. En qualité de responsable des risques, M. Lutomski était chargé de définir et de mettre en œuvre des processus de gestion des risques qualitatifs et

quantitatifs auprès des organisations et des participants internationaux du programme ISS. Il a quitté la NASA en 2013 pour rejoindre Space Exploration Technologies, ou SpaceX, où il est directeur de la sécurité et des risques du système.

Pour la première fois au cours d'un Congrès mondial de la FMH, la séance plénière générale sera suivie par des séances plénières consécutives : une séance médicale et une séance pluridisciplinaire. Les séances médicales porteront, entre autres, sur le thème de *l'hémostasie primaire*, qui sera présenté par le Dr Rodney Camire, professeur de pédiatrie adjoint à l'université de Pennsylvanie et à l'hôpital pour enfants de Philadelphie.

Le comité du programme pluridisciplinaire est ravi d'inclure ses premières séances plénières consacrées aux thèmes suivants : *les femmes et les troubles de la coagulation*, qui sera présenté par le Dr Michelle Sholzberg du St. Michel's Hospital à Toronto ; *les patients partenaires : la prochaine étape dans les soins hémophiliques*, qui sera présenté par M. Vincent Dumez, codirecteur de Direction collaboration et



partenariat patient, de la Faculté de médecine de l'Université de Montréal ; *l'émancipation par l'auto-prise en charge*, présenté par Patrick James Lynch, créateur, producteur exécutif et vedette de la série Web comique primée sur l'hémophilie « Stop the Bleeding! ». Chacune de ces séances plénières multidisciplinaires sera suivie par une séance complète du Congrès de 90 minutes, qui aura pour objectif d'approfondir le principal sujet de la séance plénière.

La dernière séance plénière du jeudi 28 juillet sera le fruit d'un effort concerté des comités des programmes médicaux et pluridisciplinaires qui mettra en lumière « ce que représente un saignement » du point de vue d'un patient et « ce qu'est la réponse au traitement » du point de vue des professionnels de la santé.

Les comités des programmes du Congrès de la FMH 2016 se sont une fois de plus efforcés de concevoir un programme innovant et dynamique d'un grand attrait pour les cliniciens, les scientifiques de base, les paramédicaux et les patients au cours des quatre principales journées du Congrès. L'une des séances phares aura une composante interactive qui fera participer la

communauté en ligne au moyen de sondages en ligne et de tweets directs intitulée *Get Net-Smart: Privacy Protection, Assessment of Online Information, and Using Web-Based Tools in Bleeding Disorders Care* (utiliser Internet : protection de la vie privée, évaluation des informations en ligne, et utilisation des outils d'Internet dans les soins des troubles de coagulation).

Les comités multidisciplinaires de la FMH ont également mis en œuvre des séances de suivi spéciales portant sur les défis à relever et les solutions à trouver afin d'améliorer le traitement et les soins des patients atteints de troubles de coagulation à l'intention des patients et des professionnels de la santé spécialisés en santé musculosquelettique, en sciences de laboratoire, en soins dentaires, en santé psychosociale et en soins infirmiers.

La FMH et la NHF sont impatientes de vous accueillir à Orlando au prochain Congrès mondial de la FMH. Les préinscriptions et les soumissions d'abrévés sont ouvertes jusqu'au 22 janvier 2016 à l'adresse www.wfh.org/congress.

CONGRÈS MONDIAL 2016 DE LA FMH

10 SÉANCES DE PERFECTIONNEMENT PROFESSIONNEL

10 SÉANCES PLÉNIÈRES

2 SÉANCES PORTANT SUR LES PLUS RÉCENTS ESSAIS

52 SÉANCES DU CONGRÈS

12 SÉANCES SUR LES ARTICLES LIBRES BASÉS SUR LES ABRÉGÉS

Les préinscriptions et les soumissions d'abrévés sont ouvertes jusqu'au 22 janvier 2016 à l'adresse www.wfh.org/congress.

LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE

DÉCEMBRE 2015 • Volume 22, No. 3

Président

Alain Weill

Comité de rédaction

Antonio Jose Almeida

Alain Baumann

Marijke van den Berg

Jens C. Bungardt

Magdy El-Ekiaby

Sarah Ford

Assad Haffar

Vanessa Herrick

Jennifer Laliberte

Jay Poulton

David Silva

Alain Weill

Rédacteur

Jay Poulton

Collaborateurs

Marijke van den Berg

Mark Brooker

Roddy Doucet

Helene Fasciano-Lussier

Sarah Ford

Assad Haffar

Christine Herr

Vanessa Herrick

Debbie Hum

Stephanie Pineda

Jay Poulton

Alain Weill

Production du design

Em Dash Design

Production de la version imprimée

AS Lithographe

Photos

cover © livcool / Shutterstock.com

Le monde de l'hémophilie est publié trois fois par an par la Fédération 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.wfh.org

NOS COORDONÉES

1425, boul. René-Lévesque Ouest Bureau 1010

Montréal, Québec H3G 1T7 Canada

Tél : +1 (514) 875-7944

Télééc. : +1 (514) 875-8916

Courriel : wfh@wfh.org

Site Web : www.wfh.org



FMH

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

CONGRÈS
MONDIAL
2016 DE LA FMH

Orlando, États-Unis · 24-28 juillet

LA RENCONTRE
INTERNATIONALE
LA PLUS IMPORTANTE POUR
LA COMMUNAUTÉ
DES PATIENTS ET DES SOIGNANTS
CONCERNÉS PAR LES
TROUBLES RARES
DE LA COAGULATION

Date limite des inscriptions anticipées et
de la réception des résumés : 22 JANVIER 2016



www.wfh.org/congress

En collaboration avec :



NATIONAL HEMOPHILIA FOUNDATION
www.hemophilia.org

Organisé par :



FMH

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

Répondre au besoin d'adopter une approche complète et intégrée à l'égard du développement des soins de santé

Au début de l'automne, j'ai accompagné une délégation en visite au Sénégal. Au cours de cette visite, nous avons marqué l'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH. En parlant aux patients, il nous est apparu évident que l'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH permettra de garantir un flux de produits de traitement plus durable et plus prévisible dans les pays qui en ont le plus besoin. Grâce à cette expansion, les communautés périphériques pourront également en bénéficier et pas seulement celles des grandes villes ou des principaux centres.

/Alain Weill, PRÉSIDENT DE LA FMH

Notre délégation a également bien compris que la sensibilisation et l'éducation étaient primordiales au recensement des patients dans le besoin. Les produits de traitement ne peuvent pas à eux seuls relever ce défi. Il appartient aux professionnels de la santé, aux organisations de patients et aux bénévoles d'expliquer aux membres de leur communauté comment vivent les personnes atteintes de troubles de coagulation héréditaires. Toutefois, ce sont souvent les réseaux de bénévoles déjà contraints et privés de ressources qui se chargent de cette tâche.

Lorsque nous analysons l'objectif stratégique de la FMH qui consiste à améliorer l'accès à des produits sûrs et efficaces par l'intermédiaire d'activités de plaidoyer et de dons de produits, nous ne pouvons pas négliger les autres domaines qui comptent aux yeux des personnes qui vivent dans les pays en voie de développement. En tant que communauté mondiale, il est impératif que nous nous employions à améliorer le diagnostic et l'accès au traitement pour toutes les personnes atteintes de troubles de coagulation héréditaires. La FMH continuera d'aider ses organisations nationales membres (ONM) à renforcer leurs capacités afin qu'elles servent mieux la communauté des troubles de coagulation héréditaires.

Dans de nombreux pays en voie de développement, les gouvernements ne disposent pas des ressources permettant d'acheter des produits de traitement, encore moins de fournir des soins hémophiliques de base. En réalité, les hémophiles de ces pays souffrent de lourds handicaps ou ont une espérance de vie considérablement écourtée.

Pour répondre aux besoins en éducation et en formation des pays qui ont déjà mis en œuvre des systèmes de soins hémophiliques de base, la FMH a lancé l'Initiative pierre angulaire en 2013. Les pays en voie de développement peuvent être admissibles à l'Initiative pierre angulaire si eux-mêmes, ou leur région, ont fait preuve d'initiative, de motivation et de potentiel à mettre en place des normes thérapeutiques de base. Par ailleurs, la FMH a donné son aval au programme de l'Alliance franco-africaine pour le traitement de l'hémophilie (AFATH), qui œuvre en Afrique subsaharienne francophone. Ce programme, coordonné par l'Association française des hémophiles (AFH), a pour objectif ultime que ces pays rejoignent la FMH et deviennent des ONM de la FMH.

Dès que ces pays mettent en place de normes thérapeutiques de base et qu'ils prouvent qu'ils sont capables de travailler plus en profondeur pour améliorer les soins hémophiliques, ils peuvent être admissibles aux programmes-pays. Lorsqu'un programme-pays démontre sa capacité d'établir un programme national de soins hémophiliques intégré au sein du système de santé qui couvre tous les domaines du développement des soins hémophiliques, celui-ci peut être admissible au programme de l'Alliance mondiale pour le progrès (AMP). Le AMP vise à recenser 50 000 personnes supplémentaires atteintes de troubles de coagulation héréditaires d'ici 2022, dont 50 % vivent dans les régions les plus défavorisées du monde.

Pour les ONM de la FMH, nous menons à bien notre travail grâce à des activités et des programmes mondiaux qui sont adaptés à chaque pays. Nous travaillons, entre autres,

avec les ONM afin de mettre en place des programmes nationaux de soins destinés à garantir la mise en place de soins complets durables, ainsi que des plans d'action de développement pour le pays ciblé. Grâce aux ateliers de formation, nous pouvons élargir la formation des professionnels de la santé ainsi que la formation sur le renforcement des capacités, et ce, afin d'assurer la précision du diagnostic en laboratoire. Des programmes comme Le Plaidoyer en action et le Programme de jumelage de la FMH permettent de mettre en œuvre les compétences de leadership des ONM à l'échelle nationale, régionale et internationale. Ces initiatives sont complétées par la promotion du développement des ONM de la FMH dans des ateliers de formation tels que l'Atelier mondial de formation pour les ONM de la FMH.

Les programmes adaptés à chaque pays ainsi que les programmes de développement des soins de santé que la FMH propose sont complémentaires au Programme d'aide humanitaire de la FMH. La capacité de recenser, de diagnostiquer, de former et ensuite de traiter ceux qui sont le plus dans le besoin fait partie intégrante de la promotion de notre vision du traitement pour tous. Étant donné que la FMH œuvre en faveur d'un meilleur accès aux produits sûrs et efficaces par des activités de plaidoyer et des dons de produits, notre travail constant, par l'intermédiaire de nos programmes, nous permettra d'améliorer et de soutenir les soins des personnes atteintes de troubles de coagulation dans le monde.



Perspectives historiques sur le traitement de l'hémophilie : comprendre la valeur de l'expérience

/ Marijke van den Berg, VICE-PRÉSIDENTE MÉDICALE DE LA FMH

Alors que nous entrons dans une ère de contrôle accru des dépenses de santé et des avantages associés à l'administration de certains schémas thérapeutiques, il est devenu assez évident que les évaluations des technologies de santé (ETS) permettent de formuler des recommandations sur la gestion du traitement hémophilique. La question se pose donc de savoir si les bonnes données probantes sont utilisées pour justifier les décisions financières susceptibles d'avoir des effets non négligeables sur l'état de santé des personnes atteintes d'hémophilie. Malheureusement, il en résulte des évaluations tirées de données qui ne prennent pas en considération des décennies d'expérience thérapeutique concrète ainsi que les améliorations considérables sur la qualité de vie que les schémas thérapeutiques, tels que la prophylaxie, apportent aux patients.

En 1958, un article publié par Biggs et Farlane a fait date. Les auteurs proposaient d'établir un diagnostic d'hémophilie en fonction de la quantité de facteurs VIII ou IX manquante. L'hémophilie sévère avait été caractérisée par un taux de facteur VIII/IX inférieur à 1 %, l'hémophilie modérée par un taux compris entre 1 et 5 % et l'hémophilie légère par un taux supérieur à 5 %.

Ces premiers diagnostics en laboratoire ont été corrélés aux observations cliniques chez des groupes de patients bien définis en Suède. En 1964, Ahlberg a publié un article démontrant une corrélation évidente entre le degré de gravité de l'hémophilie, l'âge des premiers saignements et la fréquence des hémorragies articulaires.

Les professionnels de la santé se sont principalement basés sur cette observation afin d'envisager de pratiquer des injections régulières à base de composant de plasma, remplacé plus tard par le cryoprécipité, afin que le taux de facteurs des patients souffrant d'hémophilie sévère atteigne celui des patients atteints d'hémophilie modérée. Ce schéma thérapeutique proposé tout d'abord aux patients les plus sujets aux saignements s'est clairement avéré réduire les saignements.

Une autre évolution évidente relative au schéma thérapeutique de la prophylaxie a été de réduire l'âge de commencement de ce traitement, et ce, afin que le taux avant l'injection soit supérieur à 1 %. Cela s'est traduit par une prévention efficace des hémorragies. En outre, le diagnostic des patients hémophiles a en fait changé, passant d'une hémophilie sévère à une hémophilie modérée.

Bon nombre d'études d'observation ont démontré par d'excellents résultats que

cette stratégie est efficace. Nous constatons aujourd'hui que les patients atteints d'hémophilie sévère peuvent avoir une espérance de vie normale, atteindre l'âge adulte avec des articulations normales ou quasi normales et s'engager pleinement dans les mêmes activités que les personnes de leur âge.

Pour la communauté hémophile, notamment en Europe, il est inconcevable que ce schéma thérapeutique fondamental basé sur un concept physiopathologique bien défini doive être validé par des essais contrôlés randomisés pour apporter des preuves supplémentaires. Toutefois, cette discussion commence à être soulevée dans plusieurs pays. Le défi que pose la réalisation des essais contrôlés randomisés dans le cadre de l'hémophilie est que les tendances aux saignements entre patients, même chez ceux atteints d'hémophilie sévère, sont variables. Les handicaps dus aux complications des saignements ne deviendraient manifestes qu'après plusieurs années de surveillance et de suivi, ce qui entraînerait inévitablement pour les patients des complications supplémentaires liées aux lésions articulaires et des souffrances.

L'essai clinique le plus important qui a abouti à l'administration de la prophylaxie chez les enfants aux États-Unis a été effectué par Manco-Johnson et ses collègues (NEJM 2007). À la suite d'une comparaison directe entre le traitement prophylactique et le traitement ponctuel intensif, après une période de suivi de six ans, il a été conclu que les enfants qui n'étaient pas sujets à des saignements se portaient mieux que ceux qui l'étaient. Ces derniers présentaient un plus grand nombre d'anomalies articulaires détectées par l'IRM. Selon l'étude, aucune corrélation évidente n'a été établie entre la fréquence des saignements que ces enfants présentaient et la gravité des lésions articulaires détectées par l'IRM. Cette étude démontre qu'utiliser uniquement le saignement comme mesure clinique est insuffisant pour déterminer les résultats pour le patient, notamment après cette période relativement courte. Les nouvelles études relatives aux essais cliniques contrôlés randomisés qui ont été publiées ont toutes démontré les effets bénéfiques de la prophylaxie, notamment la dernière évaluation Cochrane relative au concept de la prophylaxie qui a conclu que cette méthode produisait des résultats bénéfiques pour les patients atteints d'hémophilie.

Même en tenant compte des innombrables preuves tirées aussi bien de ces essais que des expériences concrètes des professionnels de la santé ayant administré le traitement prophylactique à leurs patients, la réalité est que



nous vivons aujourd'hui à l'époque des ETS, qui ont pour objectif de déterminer la corrélation entre le coût du traitement et les résultats obtenus. Ces ETS sont fréquemment réalisées lorsqu'il faut décider de prendre en charge un traitement pour une population de patients atteints d'hémophilie de plus en plus nombreuse.

La communauté hémophile doit non seulement assumer un rôle actif dans les discussions mais elle doit aussi vivement encourager la collecte de données supplémentaires et contribuer à les fournir, notamment dans les pays qui n'ont pas accès aux mêmes niveaux de traitement que les pays développés. Des registres bien définis, qui collectent des données de manière comparable, allant du diagnostic à l'administration du traitement, permettent de démontrer qu'à défaut d'un traitement adéquat, les patients atteints d'hémophilie sévère continueront d'être confrontés à des difficultés médicales et d'avoir une espérance de vie plus courte. Ces registres sont essentiels non seulement pour les pays qui s'efforcent d'améliorer l'accès au traitement, mais aussi pour la collecte de données prospectives relatives aux résultats dans de nombreuses régions du monde.

Dans ce domaine des soins hémophiliques, la FMH est en train d'évaluer la manière d'établir un cadre en matière de collecte de données qui permettrait à la communauté mondiale de regrouper de précieuses données sur le diagnostic, les scores de saignements, les schémas thérapeutiques et les conclusions des outils d'évaluation des résultats validés. Il est important de ne pas choisir de se restreindre à un intérêt, comme l'ont fait certaines des ETS les plus récentes, car cela ne permet pas de tenir suffisamment compte des nombreuses années d'expérience concrète de ceux qui œuvrent directement auprès des populations de patients qui ont largement bénéficié du traitement prophylactique. Il est de notre devoir de ne pas mettre les patients dans des situations où leur qualité de vie serait menacée pendant de nombreuses années parce que le principal intérêt porte sur des analyses financières.



Neuvième Forum mondial de la FMH sur la recherche et les produits de traitement des troubles de coagulation

L'accès à des produits de traitement sûrs et efficaces continue de s'améliorer d'année en année grâce aux inlassables efforts de plaidoyer que déploie la communauté mondiale des troubles de coagulation. Cette priorité stratégique pour la FMH, ainsi que le soutien continu à la recherche clinique visant à justifier le bien-fondé d'une meilleure prise en charge, ont été étroitement liés pendant toute la durée du Forum mondial de la FMH.

/Mark Brooker, CHARGÉ PRINCIPAL, POLITIQUES D'INTÉRÊT PUBLIC

Pour la première fois, la FMH a combiné notre Forum mondial sur les produits de traitement des troubles de coagulation à notre Forum sur la recherche afin de couvrir les toutes dernières évolutions dans ces deux domaines. Les conférenciers ont traité les questions relatives à la sécurité et à l'approvisionnement des produits de traitement et ont discuté et débattu des enjeux et des défis fondamentaux en matière de recherche et d'essais cliniques associés aux troubles de coagulation et à leurs produits de traitement. Le 9^e Forum mondial, qui s'est tenu les 22 et 23 octobre a rassemblé plus 170 personnes issues de plus de 30 pays, parmi lesquelles des représentants de groupes de patients, d'organismes de réglementation, de l'industrie, de laboratoires de fractionnement sans but lucratif, de chercheurs ainsi que de médecins qui prennent en charge les personnes atteintes de troubles de coagulation.

La première journée du Forum mondial a porté sur la sécurité et l'approvisionnement des produits de traitement. Une séance consacrée au développement des inhibiteurs dans l'hémophilie a mis en avant la nécessité de poursuivre les efforts déployés pour mettre au point une surveillance mondiale afin de contrôler et de comprendre les inhibiteurs. Cette séance s'est suivie par un examen détaillé des diverses questions relatives à l'approvisionnement qui touchent notre communauté mondiale, y compris des efforts que la FMH déploie pour accroître durablement l'approvisionnement des concentrés de facteurs de coagulation à l'échelle mondiale.

La seconde journée a porté sur la recherche, y compris sur les nouveaux produits de traitement qui ne sont pas des concentrés de facteurs de coagulation et sur les derniers résultats des divers essais relatifs à la thérapie génique dans le cadre de l'hémophilie A et B. Une discussion a également porté sur le coût éventuel de la thérapie génique et sur la manière de la déployer dans le monde. Le Programme de subventions de la recherche clinique de la FMH a également été présenté et deux conférenciers ont fait le point sur le travail qu'ils ont réalisé à l'aide des subventions de la recherche clinique de la FMH.

Au cours de la séance consacrée aux fabricants clôturant le Forum mondial, un nombre record

de dix entreprises a présenté des données sur des produits de traitement récemment homologués ou sur le point de l'être ainsi que sur le partage des données issues des essais cliniques en cours.

La Fédération mondiale de l'hémophilie tient à remercier les sponsors pour avoir soutenu le Forum mondial : Baxalta, Bayer, Biogen, la Société canadienne du sang (SCS), CSL Behring, Héma-Québec, Novo Nordisk, Octapharma, le ministère des Relations Internationales du Québec (MRI) et SOBI.

Les comptes rendus du Forum mondial seront publiés avant la fin de l'année. Vous trouverez déjà de nombreuses présentations sur notre site Web.

C'EST GRÂCE À VOTRE ADHÉSION QUE NOUS POUVONS EN FAIRE PLUS !

Adhérez ou renouvelez votre adhésion à la FMH dès maintenant

www.wfh.org/membership



L'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH : Transformer la vie de ceux qui en ont le plus besoin

À l'hôpital régional de Thiès, au Sénégal, une vingtaine de familles ont pris place autour d'une grande table de conférence. Bon nombre d'entre elles avaient voyagé plus d'une heure en bus pour assister à cet événement. Toutes ces familles, parmi lesquelles des mères accompagnées de leurs fils adolescents, des pères portant leurs jeunes enfants, sont en quête de la même chose : un traitement pour leurs enfants qu'elles ont tant de mal à obtenir.

/Sarah Ford, DIRECTRICE DES COMMUNICATIONS ET DU MARKETING DE LA FMH

Chaque famille a raconté son expérience et a fait part de sa détermination à changer la situation. Ce fut particulièrement émouvant lorsque les familles ont relaté l'histoire de leurs enfants absents, ceux qui sont décédés en bas âge des suites de complications liées au saignement, avant même qu'un diagnostic n'ait pu être établi.

Ce rassemblement constituait la dernière étape d'une visite de trois jours au Sénégal au cours de laquelle la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) a marqué le point de départ de l'acheminement des dons de l'aide humanitaire offerts par les sociétés pharmaceutiques mondiales, à savoir Biogen et Sobi. Des patients originaires de la région limitrophe de Thiès se sont réunis pour relater leurs histoires et expliquer ce qui fait cruellement défaut : un diagnostic, de l'éducation et un traitement.

Juste avant cette visite avec les patients et leurs familles, la FMH a coorganisé un déjeuner avec le prof. Saliou Diop, membre du comité de direction de la FMH et directeur du Centre national de transfusion sanguine de Dakar. Grâce aux témoignages de la communauté des troubles de coagulation, tant du point de vue

des patients que de celui des professionnels de la santé, cet événement a permis de mettre en avant la réalité des soins hémophiliques dans les pays en voie de développement et le besoin de garantir la prévisibilité et la durabilité des dons de l'aide humanitaire de la FMH. Parmi les participants figuraient les responsables des campagnes de dons au profit de ce programme, ainsi que les principaux représentants des soins apportés aux personnes souffrant de troubles de coagulation héréditaires au Sénégal.

.....

« L'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH entre dans le cadre de la promotion de la vision du traitement pour tous de la FMH, après de nombreuses années de planification stratégique et de sensibilisation auprès des partenaires mondiaux. »

.....

L'annonce par le représentant du ministère de la Santé que le traitement par facteur de remplacement pour l'hémophilie était à présent ajouté à la liste des médicaments essentiels du Sénégal a constitué un moment poignant.

Cette réalisation est le fruit de nombreuses années d'activités de plaidoyer menées par l'organisation nationale de patients, à savoir l'Association sénégalaise des hémophiles, ainsi que des professionnels de la santé au sein du pays comme le prof. Diop. En outre, grâce aux dons de l'aide humanitaire que la FMH offre depuis de nombreuses années, le gouvernement a pu reconnaître les résultats positifs de l'administration du traitement par facteur de remplacement. Dans des pays comme le Sénégal, le Programme d'aide humanitaire de la FMH sert de catalyseur à la mise en œuvre de programmes nationaux de soins en faveur du traitement des troubles de coagulation et est devenu un levier pour encourager les autorités sanitaires locales à investir dans ce traitement nécessaire.

L'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH entre dans le cadre de la promotion de la vision du traitement pour tous de la FMH, après de nombreuses années de planification stratégique et de sensibilisation auprès des partenaires mondiaux. L'amélioration du diagnostic et du traitement dans les pays émergents et en voie de développement est devenue l'une des priorités absolues de la FMH et la reconnaissance que l'aide humanitaire



joue un rôle essentiel dans cette stratégie revêt une importance capitale. Ces dernières années, il est devenu évident que les gouvernements de certains pays en voie de développement ne disposeront pas, dans un avenir prévisible, des ressources financières nécessaires pour proposer des produits de traitement aux prix de vente à leurs populations des troubles de coagulation. Le besoin d'un courant d'aide humanitaire durable et prévisible est l'unique chance pour que ces groupes de patients et leurs familles bénéficient d'un diagnostic puis d'un traitement.

Un plus grand nombre de partenaires au sein de la communauté mondiale des troubles de coagulation a accepté de relever ce défi et a contribué à fournir un traitement d'aide humanitaire à ceux qui en ont le plus besoin. Grâce aux dons de 500 millions d'UI que Biogen et Sobi vont offrir à la FMH sur une période de cinq ans, ainsi qu'aux efforts continus de la Société canadienne du sang, de Biotest et de Grifols avec le projet Récupération et du travail du Centre national du sang italien avec le projet SOUHAIT, la communauté mondiale bénéficiera d'un flux durable et prévisible de dons de l'aide humanitaire. En outre, CSL Behring et Grifols ont signé des engagements pluriannuels afin de fournir des produits de traitement qui contribueront à l'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH.

Pour garantir la durabilité du programme et la prévisibilité du canal d'aide, il est nécessaire que les entreprises, les pays et la communauté mondiale de l'hémophilie travaillent en étroite collaboration. Avec une capacité accrue, le perfectionnement des compétences, qui reste la priorité de la FMH, doit se poursuivre afin de venir en aide aux personnes privées de diagnostic. Il est essentiel de continuer à investir dans les programmes de développement des soins de santé, les ressources pédagogiques, la formation des professionnels de la santé et les activités de sensibilisation, qui sont tous nécessaires pour concrétiser la vision du traitement pour tous.

Lorsque les représentants de la FMH se sont rendus au centre de traitement de l'hémophilie à Dakar, ils ont rencontré un jeune garçon prénommé Bachir. Ce jeune garçon a commencé à recevoir des produits de traitement que la FMH offre depuis plus cinq ans. Sans ce traitement et les soins prodigués par l'équipe de soins à Dakar, Bachir aurait dû surmonter de nombreux autres obstacles tout au long de sa jeune vie. Il fait partie des nombreux enfants qui constateront toujours un changement considérable dans leur mode de vie maintenant que le traitement est devenu plus prévisible.

JOURNÉE MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE 2016

17 AVRIL

Le traitement pour tous est la vision de tous

Le 17 avril, la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) invite notre communauté à se réunir et à œuvrer à la réalisation de notre vision commune, à savoir le traitement pour tous. La Journée mondiale de l'hémophilie donne une occasion parfaite non seulement de mieux faire connaître l'hémophilie et les autres troubles de coagulation héréditaires, mais aussi d'envisager de quelle manière chacun d'entre nous peut contribuer à améliorer la vie de ceux qui en sont atteints. Dans le monde, 1 personne sur 1000 est atteinte d'un trouble de coagulation et la plupart d'entre elles ne sont pas dépistées et sont privées de traitement. Ensemble, nous pouvons changer cette situation.

En célébrant la Journée mondiale de l'hémophilie le 17 avril et en encourageant aussi bien les personnes qui font partie de la communauté des troubles de coagulation que celles qui n'en font pas partie à soutenir et à informer les personnes dans le besoin, nous pouvons tous contribuer à la réalisation de notre objectif commun, qui est que chaque personne atteinte d'un trouble de coagulation reçoive un diagnostic et un traitement.

La Journée mondiale de l'hémophilie vous offre une tribune pour sensibiliser les membres de votre famille, vos amis, vos collègues ainsi que vos soignants à la situation des personnes atteintes d'un trouble de coagulation héréditaire afin qu'ils leur apportent davantage de soutien.





À ce jour, plus de 2,9 millions d'UI d'aide humanitaire ont été donnés grâce au projet Récupération

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) est à la tête des efforts déployés dans le but de remédier au manque d'accès aux produits de traitement dont souffrent les personnes atteintes de troubles de coagulation héréditaires dans les pays en voie de développement.

/ Assad Haffar, DIRECTEUR DE L'AIDE HUMANITAIRE DE LA FMH

Le projet Récupération, projet d'aide humanitaire innovant, joue un rôle essentiel pour garantir l'accessibilité du traitement vital aux personnes qui en ont le plus besoin, et ce, de manière constante et prévisible.

Lancé et soutenu à l'origine par la Société canadienne de l'hémophilie (SCH), le projet Récupération permet de transformer la pâte de cryoprécipité inutilisée provenant du plasma prélevé par la Société canadienne du sang en concentré de facteur VIII à durée de conservation complète. Grâce aux partenariats conclus avec la société Biotest, qui est chargée de la fabrication et de l'expédition du produit final, ainsi qu'avec la société Grifols, qui est responsable de la collecte du cryoprécipité et de la réalisation des tests, plus de 2,9 millions d'UI d'aide humanitaire ont été acheminés vers les centres de traitement du monde depuis le lancement du projet à la fin de l'année 2013.

Cette source fiable d'aide humanitaire permettra à la FMH de garantir un acheminement durable et prévisible de produits de traitement de facteur VIII. D'ici l'année prochaine, 4,3 millions d'UI supplémentaires seront distribués à d'autres pays, ce qui permettra d'assurer un flux régulier de produits de traitement au réseau de la FMH.

Le projet Récupération a contribué à l'expansion du Programme d'aide humanitaire de la FMH et le soutien apporté par la Société canadienne de l'hémophilie, la Société canadienne du Sang, Grifols et Biotest démontre leur engagement global à soutenir ceux qui en ont le plus besoin dans la communauté des troubles de coagulation. Le leadership dont ont fait preuve ces partenaires pourra encore servir de modèle de coopération et de dévouement pour les autres pays qui se trouvent dans la même situation que le Canada.

Le projet SOUHAIT apporte un soutien inestimable pour combler l'écart en matière d'accès au traitement

Les représentants de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) et du Centro Nazionale Sangue (centre national du sang italien ou CNS) ont signé l'entente relative au projet SOUHAIT le 29 juin 2015 afin de continuer à combler l'écart en matière d'accès aux concentrés de facteur de coagulation.

/ Assad Haffar, DIRECTEUR DE L'AIDE HUMANITAIRE DE LA FMH

Le projet SOUHAIT (WISH en anglais pour « World Federation of Hemophilia and Italian National Blood Centre for a Sustainable Supply for Haemophilia patients », c'est-à-dire collaboration entre la FMH et le CNS en vue d'assurer un approvisionnement durable en produits aux patients hémophiles) est un programme humanitaire qui consiste à distribuer gratuitement jusqu'à 150 millions d'UI de facteurs VIII sur une période de cinq ans. Ces produits proviendront des dons de sang bénévoles non rémunérés d'Italie et seront fabriqués dans le cadre de contrat de sous-traitance du fractionnement du plasma. Ces produits excèdent les besoins en traitement des patients hémophiles italiens.

Le partenariat conclu entre le CNS et la FMH a pour objectif de fournir aux pays bénéficiaires un approvisionnement en produits à moyen et à long terme. Pour ce faire, il faudra que les régions italiennes et les pays bénéficiaires signent des ententes spécifiques.

Le projet Souhait repose sur l'engagement qu'a pris le CNS à l'égard du mandat d'aide humanitaire de la FMH qui vise à garantir une source de traitement pour les patients hémophiles. La société pharmaceutique italienne Kedrion Biopharma, partenaire actuelle des régions italiennes dans la fabrication du fractionnement sous contrat des produits médicaux dérivés du plasma a permis de promouvoir la mise en œuvre et le succès de cette entente. Elle a pris en charge les coûts de réglementation et de logistique relatifs à l'expédition des produits vers les pays bénéficiaires, apportant ainsi une contribution précieuse en vue d'élargir l'accès au traitement à base de facteurs de coagulation dans le monde.

Le projet SOUHAIT démontre l'engagement de ces partenaires envers la mission de la FMH qui se consacre à améliorer et à soutenir les soins des personnes qui en ont le plus besoin dans le monde.

Confiture maison, Pepaw et hémophilie



À tout juste 15 ans, Dylan DeMatteis est un cinéaste en devenir de l'Ohio passionné de rock and roll ; il collectionne les anciens vinyles et joue de la batterie en faisant preuve de la même ténacité que lorsqu'il se trouve sur les terrains de basketball. Durant son temps libre, il suit les exploits de son équipe de hockey favorite, les Lake Erie Monsters.

/Roddy Doucet, GESTIONNAIRE PAR INTÉRIM DE LA CAMPAGNE DE DON ANNUEL DE LA FMH

Même si les moments libres de cet adolescent très occupé sont rares, il poursuit son rêve d'intégrer une école de cinéma et de voyager en Europe pour partager son amour de la musique et acquérir l'expérience de vie nécessaire pour écrire et réaliser de belles histoires pour le petit et le grand écran. Et si cela ne suffisait pas, il trouve également du temps pour prendre en charge son hémophilie.

« Après avoir choisi comme produit une confiture maison, les camarades de Dylan ont voté pour faire don de toutes leurs recettes à la communauté hémophile. Dylan a été enchanté de leur choix, en reconnaissant que l'éducation et l'engagement étaient les meilleurs moyens de faire avancer l'objectif du traitement pour tous de la FMH. »

« Papi » Charles Carmen (président de la FMH de 1988 à 1993), il a décidé de combler ce fossé en montant sur la scène de son école pour parler de son expérience avec l'hémophilie. Il admet qu'il pensait que la réaction de ses camarades allait au mieux être ambivalente. À sa grande surprise, tous ses amis, aussi bien les anciens que les nouveaux, ont fait preuve d'un nouveau niveau de compréhension et d'intérêt au sujet des troubles de coagulation après sa présentation.

Peu de temps après, leur professeur leur a donné pour tâche d'élaborer un projet dans lequel ils devaient gérer tous les aspects d'une petite entreprise, du concept à la vente en passant par la production et le marketing. Dans le cadre de ce projet, les élèves ont décidé de reverser tous leurs bénéfices à un organisme caritatif de leur ville. Après avoir choisi comme produit une confiture maison, les camarades de Dylan ont voté pour faire don de toutes leurs recettes à la communauté hémophile. Dylan a été enchanté de leur choix, en reconnaissant que l'éducation et l'engagement étaient les meilleurs moyens

de faire avancer l'objectif du traitement pour tous de la FMH. En réalité, il est une source d'inspiration pour la communauté des troubles de coagulation. « Si j'avais un conseil à donner à une personne atteinte d'hémophilie, ce serait de considérer cette maladie comme un cadeau, qui vous rend plus fort que la plupart des gens, et pas comme une malédiction qui vous rend plus vulnérable, et de ne pas s'en servir de prétexte pour vous apitoyer sur votre propre sort. Et si j'avais un conseil à donner à l'ami d'un hémophile, ce serait de continuer de le soutenir et de l'aider en étant un ami à l'écoute ».

Les donateurs de la FMH soutiennent les programmes d'éducation et de sensibilisation dans le monde entier. Pour savoir comment rejoindre la liste croissante des personnes qui choisissent de soutenir financièrement le traitement pour tous de la FMH, veuillez envoyer un email dès aujourd'hui à Roddy Doucet, gestionnaire par intérim de la campagne de don annuel de la FMH, à l'adresse rdoucet@wfh.org.

Lorsqu'il était au collège, il a constaté que ses camarades de classe ne comprenaient pas l'hémophilie, une maladie qu'il prend en charge avec l'aide de sa famille et d'une équipe de soins dévouée aussi loin qu'il s'en souvient. L'un de ses tout premiers souvenirs, c'est d'avoir reçu son « bouton magique », un port médical qu'il a rebaptisé pour la plus grande joie de sa famille. D'ailleurs, sa famille s'est émerveillée par la suite devant son esprit irrésistible peu de temps après un mariage où il a dansé toute la nuit alors qu'il portait un plâtre pour que son saignement spontané cesse.

Passionné par les activités de sensibilisation et l'engagement communautaire, passion encouragée par le souvenir de son grand-père

**TRAITEMENT
POUR TOUS**

C'EST POSSIBLE
...
GRÂCE À VOTRE SOUTIEN

APPEL ANNUEL 2015 DE LA FMH

wfh.org/donate



Un émouvant adieu

/ Jay Poulton, RÉDACTEUR/
COORDONNATEUR DES SERVICES DE
RÉDACTION DE LA FMH

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) doit faire ses adieux à un membre de longue date de sa famille. Elizabeth Myles, chef des opérations de la FMH, a décidé de vivre de nouvelles aventures et de quitter son poste à la fin du mois d'octobre.

En 1998, Elizabeth avait rejoint la FMH en tant que gestionnaire des publications et des informations. Au cours de ses années de service au sein de la FMH, elle a assisté à huit Congrès mondiaux de la FMH, à d'innombrables événements internationaux et à une quantité apparemment infinie de réunions, mais ce qu'elle gardera avant tout en mémoire, ce sont les personnes qu'elle a croisées sur son chemin.

« J'ai eu le grand privilège de faire partie de cette organisation et de cette communauté. Je suis très fière des contributions que j'ai apportées et du travail accompli par la FMH mais ce dont je me souviendrai le plus, ce sont les personnes que j'ai rencontrées. Le personnel de la FMH au fil des ans, le comité et les bénévoles, les leaders des ONM, les médecins, les personnes atteintes de troubles de coagulation ; leur engagement a été pour moi une source d'inspiration, » assure Elizabeth, « ils m'ont laissé des souvenirs que je continuerai à chérir à l'avenir. »

Au cours de ces dix-sept années passées au sein de la FMH, l'organisation a connu une croissance fulgurante, pas seulement les opérations internes mais à travers la quantité de programmes consacrés à aider la communauté des troubles de coagulation.

Au nom de toute la communauté des troubles de coagulation, la FMH tient à remercier chaleureusement Elizabeth et lui souhaite tout le meilleur pour l'avenir.

Leadership en formation : un conte d'Afrique du Sud

Lorsque le Dr Nomawethu Tonjeni, médecin d'Afrique du Sud, a présenté sa candidature au Programme de bourses des centres internationaux de formation en hémophilie (CIFH) en 2012, elle souhaitait tout savoir sur le diagnostic et le traitement des patients atteints de troubles de coagulation.

/ Stephanie Pineda, AGENTE DES PROGRAMMES DE LA FMH

Comme elle avait déjà assisté à des ateliers éducatifs en Californie, à Sendai, ainsi qu'au Congrès mondial 2010 de la Fédération mondiale de l'hémophilie à Buenos Aires, elle était désireuse d'en savoir plus. En 2012, elle s'est vu décerner une bourse et a entrepris sa formation au centre de soins complets de l'hémophilie à Manchester, au Royaume-Uni, sous la direction du Prof. Charles Hay.

« En arrivant, j'ai eu le sentiment d'être dans un hôpital immense et bien équipé du monde développé qui possédait le plus grand laboratoire que je n'avais jamais vu, » déclare le Dr Tonjeni. « Les unités, les services, les dispensaires et les programmes hebdomadaires étaient bien organisés. » Le CIFH disposait d'une équipe pluridisciplinaire composée de médecins, de cliniciens infirmiers, de chercheurs en laboratoire, de physiothérapeutes et de travailleurs sociaux. Elle avait la sensation qu'elle recevait une formation de qualité mondiale dispensée par des « enseignants excellents et compétents ».

Au cours des quatre semaines que le Dr Tonjeni a passées à Manchester dans le cadre de son programme de bourses, elle a eu la possibilité de découvrir les divers aspects du traitement hémophilique. « J'ai beaucoup appris sur la prise en charge des femmes enceintes atteintes de thromboses ou de troubles de coagulation ; un service qui n'est pas offert dans mon pays ». Elle a également assisté à des séances cliniques sur l'hématologie pédiatrique, découvert les bases de données nationales du Royaume-Uni, le traitement à domicile, ainsi que l'utilisation des smartphones comme outils et elle a suivi des cours sur les examens en laboratoire relatifs à l'hémophilie et à l'hémostase. Son programme comprenait l'observation de la co-prise en charge des patients avec d'autres disciplines telles que l'obstétrique et la clinique du VIH. L'un des moments forts de son

séjour à l'hôpital Manchester Royal Infirmary a été la visite de l'équipe nationale d'accréditation du Royaume-Uni au centre de soins complets de l'hémophilie de Manchester. « Cela m'a servi de leçon pour établir un centre de l'hémophilie et les éléments à mettre en place », déclare le Dr Tonjeni.

Aujourd'hui, le Dr Tonjeni rend visite à l'hôpital périphérique et aux dispensaires afin de former d'autres médecins et infirmiers cliniciens sur les méthodes de diagnostic et de traitement des patients atteints de troubles de coagulation. Elle contribue également aux campagnes de sensibilisation dans les écoles et fait des interventions à la radio. En qualité de spécialiste en chef et directrice de la clinique de l'hémophilie du centre hospitalier Nelson Mandela à Mthatha, le Dr Tonjeni a constaté une augmentation du nombre de patients qui se rendent à la clinique. Elle constate également que la haute direction de son hôpital est très solidaire et lui alloue le budget nécessaire pour que le dispensaire dispose d'un approvisionnement constant en facteurs. Ses services de laboratoire ont également été améliorés, les physiothérapeutes ont reçu une formation actualisée, un urologue se charge de contrôler médicalement les circoncisions et des bilans dentaires réguliers sont désormais proposés aux patients.

Le Dr Tonjeni fait maintenant partie d'un réseau de plus de 600 anciens boursiers des CIFH qui s'emploient à améliorer les soins des patients atteints de troubles de coagulation dans le monde. Elle est reconnaissante de la formation qu'elle a reçue dans le cadre du programme de bourses des CIFH. « Cette formation m'a permis d'ouvrir les yeux sur un grand nombre d'aspects : la création d'une clinique, les éléments à mettre en place, l'organisation de la clinique, la recherche, les bases de données, le traitement à domicile, la prophylaxie, l'utilisation des smartphones, l'importance des services de soutien (équipe multidisciplinaire) et bien plus encore. »

La FMH tient à remercier Bayer pour leur soutien exclusif du programme CIFH.

La surveillance internationale, la clé pour comprendre les inhibiteurs

Les inhibiteurs sont des anticorps que le système immunitaire produit en réaction à l'injection du facteur VIII ou du facteur IX et sont la cause de l'inefficacité du traitement.

/Debbie Hum, AUTEURE CONTRIBUTRICE DE LA FMH

Au cours d'une séance sur les inhibiteurs organisée à l'occasion du Forum mondial 2015 de la FMH, le Dr Mike Soucie, des Centres pour le contrôle et la prévention des maladies (Centers For Disease Control And Prevention ou CDC) des États-Unis, a indiqué que les inhibiteurs constituent aujourd'hui la principale complication liée au traitement que rencontrent les personnes atteintes d'hémophilie, et sont associés à l'augmentation de la morbidité et de la mortalité et à une hausse considérable des dépenses.

Pour les cliniciens et les chercheurs, la cause du développement des inhibiteurs est multifactorielle. Pour étudier comment se développent les inhibiteurs dans le cadre d'une maladie rare, la collaboration de tous les intervenants internationaux s'impose. À la suite des ateliers sur les inhibiteurs organisés par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis et l'Agence européenne des médicaments (EMA) en 2003 et en 2005, les organismes de réglementation ont indiqué que les essais cliniques étaient inadéquats pour évaluer le risque et ont recommandé une surveillance à long terme au moyen de registres.

SURVEILLANCE DES INHIBITEURS AUX ÉTATS-UNIS

En 2006, l'étude de recherche sur les inhibiteurs de l'hémophilie (Hemophilia Inhibitor Research Study ou HIRS) a été entreprise en tant que projet pilote relatif à la surveillance prospective des inhibiteurs aux États-Unis. Les principales conclusions de l'étude HIRS révélées en 2012 ont confirmé que tous les patients hémophiles sont exposés au risque ; les patients atteints d'hémophilie A présentent le risque le plus élevé, le taux d'incidence étant de 25 à 30 % au cours des 50 premiers jours d'exposition. Les inhibiteurs se développent également chez les patients atteints d'hémophilie légère, les patients présentant un faible risque de mutation et les patients exposés à plus de 150 jours de traitement, même si le risque est très rare. La surveillance nationale des inhibiteurs nécessite la mise en place d'un protocole normalisé qui précise quels sont les patients à tester, les intervalles des tests, ainsi que les tests centralisés », souligne le Dr Soucie.

ATELIER SUR L'IMMUNOGÉNÉICITÉ DE LA FDA

Selon le Dr Glenn Pierce, membre médical du comité de direction de la FMH, les inhibiteurs posent de nombreux défis pour les différents intervenants. Pour les patients, les soignants et le système de santé, les inhibiteurs entraînent des coûts économiques ainsi que des coûts

humains en termes de morbidité et de situations potentiellement dangereuses causant la mort. Pour l'industrie, le développement des inhibiteurs au cours de la production des nouveaux médicaments présente des risques supplémentaires liés aux coûts de développement des médicaments. En raison de l'absence d'outils prévisibles, les anticorps ne sont détectés que dans les essais tardifs de phase 3, soit après l'accumulation d'importantes dépenses. Pour les organismes de réglementation, les produits innovants de bioingénierie deviennent la norme, mais les conséquences immunitaires des néo-épitopes sont difficiles à évaluer et nécessitent une vaste population de patients.

Le Dr Pierce a présenté un rapport sommaire sur l'atelier public que la FDA a tenu en septembre 2015 consacré aux nouvelles méthodes de prévision de l'immunogénicité des protéines de coagulation thérapeutiques. L'atelier portait sur les déterminants génétiques de l'immunogénicité et mettait en avant l'importance de disposer d'échantillons cliniques bien caractérisés. Cet atelier analysait également les ressources à disposition, comme les registres et les bases de données relatifs à l'hémophilie, les initiatives de génotypage et les échantillons biologiques et soulignait l'importance de l'intégration des données afin d'obtenir de meilleurs résultats pour les patients.

Selon le Dr Pierce, les protéines de coagulation issues du pipeline de développement des médicaments suscitent de nouvelles craintes et des risques plus importants ont été détectés chez des sous-groupes de patients. « Presque tous les médicaments biotechnologiques provoquent une réponse immunitaire chez certains patients, même s'il ne s'agit généralement que d'une infime fraction.

Toutefois, ces réactions sont d'autant plus inquiétantes que le nombre de protéines médicaments augmente. »

ATELIER DE L'EMA SUR LES REGISTRES DE L'HÉMOPHILIE

Le défi principal que posent les registres de l'hémophilie est l'absence de structure globale sur la gestion, la conception et l'hébergement des données collectées, selon le Dr Anneliese Hilger de l'institut allemand Paul-Ehrlich et de l'EMA. Elle a présenté une synthèse de l'atelier de l'EMA sur les registres de l'hémophilie qui s'est tenu à Londres en juillet 2015.

L'atelier répondait à un certain nombre de questions cruciales, notamment celle de savoir si le nombre actuel de registres relatifs à l'hémophilie améliorerait la sécurité des patients et débouchait sur des recherches de meilleure qualité dans le domaine de l'hémophilie. Les participants aux ateliers se sont accordés sur un certain nombre d'éléments importants à mettre en place pour améliorer la collecte des données relatives à l'hémophilie. Dans l'idéal, chaque patient doit figurer dans un registre de pathologies et les patients participant à des essais cliniques doivent demeurer dans les registres. Les identificateurs de patients doivent éviter tout chevauchement entre les registres et réduire le double emploi. La collaboration de tous les intervenants s'impose, et il faut un accord entre les organismes de réglementation et d'autres intervenants sur un protocole ou un ensemble de données minimal. Par ailleurs, il est important d'associer les initiatives des autres registres relatifs aux maladies rares car les problématiques seront communes. Enfin, il faut harmoniser les registres nationaux, promouvoir et soutenir un plus grand nombre de registres nationaux ainsi que l'assurance de la qualité.

PRIX DE BÉNÉVOLAT DE LA FMH

CONNAISSEZ-VOUS QUELQU'UN QUI A CONTRIBUÉ DE MANIÈRE EXEMPLAIRE AUX SOINS HÉMOPHILIQUES DANS LE MONDE ?

La FMH accepte à présent les candidatures pour le Prix international de bénévolat Frank Schnabel et le Prix international de bénévolat des soins de santé.

Consultez www.wfh.org/awards pour obtenir davantage d'informations et soumettre votre candidature.



Le Programme de subventions de la recherche clinique de la FMH à l'appui des nouvelles études cliniques

Lize van Vulpen sait que sans l'aide du Programme de subventions de la recherche clinique de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH), elle n'aurait jamais pu entreprendre ses recherches sur les distractions articulaires dans le traitement de l'arthrose de la cheville dont souffrent les personnes atteintes d'hémophilie.



/Christine Herr, COORDINATRICE DES DONNÉES ET DE LA RECHERCHE DE LA FMH

« Au-delà du soutien financier, la subvention représentait également une reconnaissance de la part de la FMH que nos recherches étaient importantes et très utiles. Cela m'a aidée à convaincre toutes les personnes avec lesquelles j'avais besoin de collaborer pour que ce projet se concrétise, » déclare Lize van Vulpen.

Mme van Vulpen, lauréate d'une subvention de 2014, ainsi que son partenaire de recherche, Roger Schutgens, de l'University Medical Center Utrecht, à Utrecht, aux Pays-Bas, souhaitent étudier la valeur de la distraction articulaire du point de vue du patient, l'objectif principal étant les symptômes et la fonctionnalité.

« Pour bénéficier de la subvention, il fallait avoir un objectif clinique direct. Cela cadrerait parfaitement avec la proposition que j'étais en train de rédiger, » ajoute Mme van Vulpen.

L'objectif clinique direct donne la possibilité aux chercheurs d'influer directement sur le traitement des personnes atteintes de troubles de coagulation et d'établir éventuellement des bases visant à améliorer la vie des patients.

« En concevant mes recherches, j'essaie tout d'abord d'expliquer le problème du point de vue du patient. Dans cette optique, j'essaie de formuler une question de recherche qui, au final, permet d'améliorer davantage la vie des patients. Parfois, ce lien est difficile à voir, étant donné que j'effectue également

des recherches de base. Mais dans le cas de la recherche sur l'identification des biomarqueurs des lésions articulaires, je suis convaincue que cela conduira en fin de compte à effectuer des essais plus sensibles et de meilleure qualité qui étudieront l'impact de nos interventions sur l'état des articulations. »

Depuis le lancement du Programme de subventions en 2013, la FMH a octroyé au total 8 subventions (soit 8 projets financés).

Au total, 363 770 \$ ont été distribués. Veuillez noter qu'une partie de cette somme sera distribuée au début de l'année 2016 dans le cadre de la deuxième année de financement des lauréats 2015.

Nomination des membres du comité de direction de la FMH

Les membres du comité de direction de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) jouent un rôle fondamental pour déterminer l'orientation stratégique de la FMH et veiller à ce que l'organisation représente les intérêts de la communauté mondiale des troubles de coagulation. Les membres du comité de direction sont élus au cours de l'Assemblée générale de la FMH, qui se déroule après la tenue du Congrès mondial de la FMH. Les organisations nationales membres (ONM) de la FMH qui sont pleinement agréées et à jour de leurs cotisations peuvent proposer la candidature d'une personne aux élections du comité de direction. Les soumissions des candidatures au comité de direction seront acceptées à compter du 1er mars 2016. Toute personne souhaitant présenter sa candidature à un poste du comité de direction doit en informer l'ONM de son pays.

Nous élimons des candidats aux postes suivants : président, deux membres non professionnels (personnes atteintes de troubles de coagulation ou leurs proches) et deux

membres médicaux. Les membres seront élus pour un mandat de quatre ans. Chaque ONM peut soumettre une candidature au poste de président. Par ailleurs, les ONM peuvent proposer deux candidats médicaux (médecins) et deux candidats non professionnels (personnes atteintes de troubles de coagulation ou leurs proches), un candidat de leur pays ou régions et un candidat d'un autre pays. Tous les formulaires de candidature doivent être signés par le président de l'ONM à l'origine de la candidature. Après la date limite des candidatures, le siège de la FMH recensera le nombre de candidatures et confirmera si le candidat a obtenu le nombre de voix requises. Soixante jours avant la tenue de l'Assemblée générale, le siège de la FMH distribuera la liste définitive des candidats ainsi que leurs curriculum vitae (CV) à toutes les ONM pour examen. Lors de l'Assemblée générale de la FMH, toutes les ONM admissibles éliront les candidats de leur choix aux postes respectifs.

Les candidatures doivent être reçues au siège de la FMH avant

le vendredi 30 avril 2016 à 17 h (heure normale de l'Est).

Pour obtenir davantage de renseignements sur les postes du comité de direction et le processus de candidature et d'élection, ou pour soumettre un formulaire de candidature, veuillez nous contacter à l'adresse suivante :

WFHElections2014@wfh.org

Remerciements

Nous remercions les organisations qui se sont engagées à accomplir la mission de la FMH

MÉCÈNE

Jan Willem André de la Porte

CONTRIBUTIONS ANNUELLES SANS RESTRICTIONS

Baxalta
Bayer
Biogen
Biotest
CSL Behring
Gilead
Green Cross
Grifols
Kedrion
LFB
Novo Nordisk
Octapharma
Pfizer
Precision BioLogic
Sanquin
SOBI

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

Partenaire visionnaire
Baxalta

Partenaire leader
CSL Behring

Partenaire collaborateur
Bayer
Biogen
Biotest
Grifols
Kedrion
Novo Nordisk
Pfizer
SOBI

PROGRAMMES COMMANDITÉS

Le Plaidoyer en action : programme de formation des ONM
Baxalta

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
Baxalta
Bayer
Grifols
Hemophilia Center of Western Pennsylvania 340B Program

Congrès sur la santé ... musculosquelettique
Platinum Sponsor: Baxalta, Novo Nordisk

Forum mondial
Baxalta
Bayer
Biogen
Canadian Blood Services
CSL Behring
Héma Québec
Ministère des Relations internationales, de la Francophonie
Novo Nordisk
SOBI

Site Web
Section du site Web sur la prophylaxie : Biogen
Section du site Web sur les troubles de coagulation rares : Novo Nordisk
Section du site Web sur la maladie de von Willebrand : Octapharma

Projets de localisation du site Web
Arabe : Pfizer
Japonais : Biogen
Russe : SOBI
Chinois simplifié : Bayer

Le Programme d'aide humanitaire de la FMH
Baxalta
Biogen-Sobi
Biotest
CSL Behring
Grifols
Novo Nordisk
Pfizer

Autres programmes commandités
Colloque national sur les troubles de coagulation : Biotest
Fonds commémoratif Susan Skinner: Hemophilia Alliance Foundation
Initiative sur l'Afrique de la FMH : Pfizer
Atelier sur les soins hémophiliques : Kedrion , Erongomed
Atelier de formation sur la maladie de von Willebrand : LFB

Journée mondiale de l'hémophilie
Baxalta, Bayer, Biogen, CSL Behring, Novo Nordisk, Precision BioLogic, SOBI

ORGANISATIONS

Achillion Consulting Limited
Arizona Hemophilia Association
Association française des hémophiles*
Bayer Healthcare
Canadian Hemophilia Society*
Colorado Chapter of the National Hemophilia Foundation
Community West Foundation
CSL Limited (Australia)
Ethical Factor Rx
Fondazione Angelo Bianchi Bonomi GE Canada
Haemophilia Association of Mauritius*
Hemophilia Association of the Capital Area
Hemophilia Foundation of Oregon
Hemophilia of Georgia
Hemophilia of North Carolina
Hudson Montessori Middle School
Irish Haemophilia Society*
LA Kelley Communications, Inc.
M.T.L. Bagel
Myers Plumbing & Heating Inc.
National Hemophilia Foundation (U.S.A.)*
Opticom International Research AB
The Marketing Research Bureau
Virginia Hemophilia Foundation

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

LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE VEUT DE VOS NOUVELLES!

Les activités des personnes atteintes d'hémophilie et d'autres troubles de coagulation rares, et les organisations qui les aident, importent à tous ceux et celles qui forment la communauté des troubles de coagulation. Nous sollicitons articles, lettres et suggestions. Veuillez les envoyer à :

La rédaction, Le monde de l'hémophilie
1425 René Lévesque Boulevard West, bureau 1010
Montréal, Québec, H3G 1T7, Canada
Courriel : jpoulton@wfh.org

Calendrier

9th Annual Conference of the European Association for Haemophilia and Allied Disorders

3-5 février 2016
Malmö, Suède
Tél.: +44 (0)1355 244 966
Télec.: +44 (0)1355 249 959
www.eahad2016.com

60th Annual Meeting of the Society of Thrombosis and Haemostasis Research

17-20 février 2016
Münster, Allemagne
Tél.: +49 (0)30 20 45 936
Courriel: gth@mci-group.com
www.gth2016.org

IPFA Asia Pacific Workshop on Plasma Quality and Supply

8-9 mars 2016
Taipei, Taiwan
Tél.: +31 20 512 3561
Courriel: info@ipfa.nl
www.ipfa.nl

International Plasma Protein Congress

PPTA
22-23 mars 2016
Barcelone, Espagne
www.pptaglobal.org

13th International Hemophilia Congress of Turkey

17-19 avril 2016
Istanbul, Turquie
www.turkiyehemofilikongresi.com

IPFA/PEI 23rd International Workshop on "Surveillance and Screening of Blood Borne Pathogens"

25-26 mai 2016
Lisbonne, Portugal
Tél.: +31 20 512 3561
Courriel: info@ipfa.nl
www.ipfa.nl

WFH 2016 World Congress

24-28 juillet 2016
Orlando, États-Unis
Tél.: +1 514-394-2834
Courriel: info2016@wfh.org
www.wfh.org/congress/en

Spanish Hematology Meeting

20-21 avril 2017
Buenos Aires, Argentine
www.acamedbai.org.ar/iihema.php

TRAITEMENT POUR TOUS LA VISION DE TOUS



JOURNÉE MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE 2016 | LE 17 AVRIL

DANS LE MONDE, 1 PERSONNE
SUR 1 000 SOUFFRE D'UN
TROUBLE DE COAGULATION.
LA PLUPART D'ENTRE ELLES NE
SONT PAS DÉPISTÉES ET SONT
PRIVÉES DE TRAITEMENT.



ENSEMBLE, NOUS POUVONS CHANGER CETTE SITUATION



wfh.org/whd

 facebook.com/wfhemophilia

 [@wfhemophilia](https://twitter.com/wfhemophilia)
Suivez les nouvelles sur la Journée mondiale
de l'hémophilie à l'hashtag : #WorldHemoDay



FMH

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