

Chapitre 6

PROPHYLAXIE DANS LE DOMAINE DE L'HÉMOPHILIE

Manuel Carcao, H. Marijke van den Berg, Emna Gouider, Kate Khair, Manuel A. Baarslag, Lisa Bagley, Francisco de Paula Careta, Rolf C. R. Ljung, Margaret V. Ragni, Elena Santagostino, Glenn F. Pierce, Alok Srivastava

Prophylaxie : CE QU'IL FAUT SAVOIR



La prophylaxie est le **traitement de référence** pour les personnes atteintes d'hémophilie sévère partout dans le monde.

Qu'est-ce que la prophylaxie?

La **prophylaxie** est un traitement préventif, régulier et continu, par injection d'un agent hémostatique.

Cela la différence du **traitement ponctuel avec facteur de remplacement** (également appelé traitement à la demande), qui consiste à injecter des facteurs de coagulation uniquement en cas d'hémorragie.

La prophylaxie est privilégiée par rapport au traitement ponctuel dans le monde entier, mais il est possible de mettre en œuvre une **prophylaxie moins intensive** dans les pays aux ressources limitées.

Quels sont les objectifs de la prophylaxie?

Les personnes atteintes d'hémophilie devraient commencer la prophylaxie le plus tôt possible, idéalement avant l'âge de trois ans, mais il est possible de la démarrer à tout âge.

La **prophylaxie** vise à prévenir les hémorragies chez les personnes atteintes d'hémophilie tout en leur permettant de mener une vie active et de bénéficier d'une qualité de vie comparable à celle des personnes indemnes de l'hémophilie.

Quels sont les bénéfices de la prophylaxie par rapport à un traitement ponctuel avec facteur de remplacement ?

Avantages de la prophylaxie

- ✓ Les personnes atteintes d'hémophilie qui bénéficient d'une prophylaxie régulière ont nettement moins d'hémorragies et souffrent moins de maladies articulaires.
- ✓ La prophylaxie peut prévenir ou diminuer le risque d'hémorragie intracrânienne.
- ✓ Les avantages à plus long terme incluent moins de douleurs chroniques, moins d'interventions de chirurgie orthopédique, moins d'hospitalisations et moins de passages aux urgences.
- ✓ Tout ceci entraîne une **meilleure qualité de vie** et une plus grande participation (à savoir, une présence régulière) aux activités éducatives, récréatives et professionnelles.

Chapitre 6 PROPHYLAXIE DANS LE DOMAINE DE L'HÉMOPHILIE

QUELS SONT LES DIFFÉRENTS TYPES DE TRAITEMENT PROPHYLACTIQUE?

La prophylaxie peut consister à administrer des concentrés de facteur de coagulation à demi-vie standard ou prolongée ou un traitement sans facteur de remplacement (par exemple, l'emicizumab).

Traitement avec facteur à demi-vie standard

- Les concentrés de facteur à demi-vie standard sont utilisés dans les traitements prophylactiques des personnes atteintes d'hémophilie A et B.
- Des injections fréquentes sont nécessaires :
 - 3 à 4 fois par semaine en cas d'hémophilie A (FVIII);
 - 2 à 3 fois par semaine en cas d'hémophilie B (FIX).
- Si la prophylaxie est mise en œuvre conformément au calendrier fourni par votre médecin, au fil du temps, vous aurez moins de saignements et de problèmes articulaires.
- La fréquence des injections peut être corrélée à un accès veineux difficile, particulièrement chez les jeunes enfants.

Traitement avec facteur à demi-vie prolongée

- Les concentrés de facteur à demi-vie prolongée sont utilisés dans les thérapies prophylactiques des personnes atteintes d'hémophilie A et B.
- Les concentrés de facteur à demi-vie prolongée nécessitent des injections moins fréquentes que les concentrés de facteur à demi-vie standard :
 - seulement une fois par semaine ou même toutes les deux semaines (pour certains concentrés de facteur IX à demi-vie prolongée).
- La prophylaxie à base de concentrés de facteur à demi-vie prolongée signifie pour vous :
 - des injections moins fréquentes;
 - moins de passages à la clinique ou à l'hôpital si c'est là que ces injections ont lieu;
 - moins de problèmes d'accès veineux.

Traitement sans facteur de remplacement

- La prophylaxie par traitement sans facteur de remplacement existe à présent.
- L'emicizumab est le seul traitement sans facteur de remplacement étant autorisé sur le marché à la date du présent document.
- L'emicizumab est utilisé comme traitement prophylactique de l'hémophilie A uniquement.
- Administré par voie sous-cutanée (sous la peau et non dans la veine comme le facteur de coagulation traditionnel) une fois par semaine, voire moins.
- La prophylaxie par traitement sans facteur de remplacement peut mener :
 - à un protocole prophylactique moins lourd;
 - à une meilleure adhésion au traitement;
 - à une plus grande participation à des activités sociales et sportives.