

LE MONDE DE L'HÉMOPHILIE

Septembre 2012 VOLUME 19 • N° 2

www.wfh.org



ALAIN WEILL ÉLU PRÉSIDENT DE LA FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE

Elizabeth Myles

DIRECTRICE DES COMMUNICATIONS ET DES POLITIQUES D'INTÉRÊT PUBLIC DE LA FMH

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) est heureuse d'annoncer qu'Alain Weill a été élu président lors de l'Assemblée générale tenue le 13 juillet 2012. M. Weill habite en France et jouit de longues années d'expérience en gestion et dans les affaires à l'échelle internationale. Aujourd'hui à la retraite, il a travaillé pendant plus de 30 ans chez Air France, où il était le chef de cabinet du chef de la direction. Il a connu de nombreuses cultures et a habité l'Inde, le Royaume-Uni, la Belgique et les Pays-Bas.

M. Weill a eu son premier contact avec l'hémophilie quand il a appris que son fils était atteint d'hémophilie A sévère. Il est actif au sein de l'Association Française des Hémophiles et a été élu membre de son conseil d'administration en 2006. Il a fait partie du Comité directeur du Consortium européen de l'hémophilie à titre de membre élu et il a été choisi par la Commission européenne pour représenter les patients au sein du Comité européen d'experts sur les maladies rares (CERD). Il a également été membre du comité organisateur du Congrès mondial 2012 de la FMH à Paris.

« Malgré 50 ans d'efforts, la situation dans bien des pays reste insatisfaisante quant au diagnostic, aux soins et à la disponibilité des produits, a

déclaré M. Weill. Il reste du travail à faire. Mon objectif est que chaque année, nous nous rapprochions un peu plus de notre vision du Traitement pour tous. » ■

Droite: Alain Weill. De gauche à droite: Alain Weill, président de la FMH, John E. Bournas, directeur général et chef de la direction de la FMH, et Mark W. Skinner, président sortant de la FMH (2004-2012).



2
DES CHIFFRES
RECORDS

Les grands moments du Congrès mondial 2012 de la FMH

4
SÉANCES DU
CONGRÈS

Les dernières avancées présentées pendant les séances médicale et multidisciplinaire

8
50 ANS CONSACRÉS
À AMÉLIORER
LE TRAITEMENT
POUR TOUS

Lancement de la campagne Comblent l'écart et du 50^e anniversaire de la FMH

10
LA FMH HONORE
SES BÉNÉVOLES

Cérémonie de remise des prix d'honneur de 2012

13
ASSEMBLÉE
GÉNÉRALE
DE LA FMH

Nouvelles ONM et nouveaux visages au Conseil de direction



FMH

50

ANS CONSACRÉS À AMÉLIORER
LE TRAITEMENT POUR TOUS

FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
World Federation of Hemophilia
Federación Mundial de Hemofilia



Haut : Des délégués au centre de ressources de la FMH; les nombreuses affiches exposées ont fait bien des intéressés; divertissement musical pendant le programme culturel. Bas : Norbert Ferré, président du Congrès mondial 2012 de la FMH, distribue le journal; des danseurs exécutent le traditionnel cancan pendant le programme culturel.

LE CONGRÈS MONDIAL 2012 DE LA FMH À PARIS ATTIRE UN NOMBRE RECORD DE DÉLÉGUÉS



Craig T. McEwen

DIRECTEUR CHARGÉ DES CONGRÈS ET RÉUNIONS DE LA FMH

Le Congrès mondial 2012 de la FMH a réuni à Paris, en France, un nombre record de membres de la communauté internationale des troubles de coagulation. Le Congrès de cette année était d'autant plus significatif qu'il coïncidait avec le début des activités organisées pour le 50^e anniversaire de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) et le lancement de la campagne Comblent l'écart. Les plus de 5 400 délégués venus de 130 pays ont rempli les salles de conférence, l'espace réservé aux affiches et le hall d'exposition.

Le solide programme médical a été présenté par d'éminents chercheurs spécialisés en hémophilie. Il comprenait des conférences plénières sur les nouvelles façons de prendre en charge l'hépatite C, la prophylaxie personnalisée, les projets de recherche de la FMH, l'élaboration de modèles de traitement de l'hémophilie, et l'utilisation de produits à action prolongée comparée à celle du transfert génique. Le programme multidisciplinaire a porté sur des sujets comme les perspectives familiales et le soutien psychosocial, les modèles psychosociaux de l'hémophilie, le vieillissement pour les hémophiles et les femmes atteintes de troubles de coagulation héréditaires.

Le Congrès était organisé par la FMH et l'Association française des Hémophiles (AFH) en était l'hôte. L'AFH a eu l'honneur d'annoncer que Monsieur François Hollande, président de la République française, accordait son distingué patronage au 30^e Congrès international de la Fédération mondiale de l'hémophilie.

Norbert Ferré, président du Congrès, Edmond-Luc Henry, président honoraire, Mark

W. Skinner, président de la FMH (2004-2012), le Prof. Claude Négrier, co-président du programme médical, et Dominique Bertinotti, représentant du gouvernement français et ministre délégué aux familles, ont accueilli la communauté mondiale des troubles de coagulation lors de la cérémonie d'ouverture.

« La tenue d'un congrès mondial est un grand honneur pour le pays d'accueil », a déclaré M. Henry. « De plus, le Congrès mondial 2012 de la FMH marque le jubilé de la Fédération mondiale de l'hémophilie, ce qui amplifie la force symbolique de cet événement pour la Société française de l'hémophilie. »

En l'honneur du 50^e anniversaire de la FMH, plusieurs invités spéciaux ont participé au Congrès, dont Jan Willem André de la Porte, mécène de la FMH, Gina Schnabel, fille Frank

Schnabel, le président fondateur de la FMH, Patsy Carman, épouse de Charles Carman, président de la FMH de 1988 à 1993, et Brian O'Mahony, président de la FMH de 1994 à 2004.

Il y eu pendant le Congrès plusieurs moments propices aux échanges sociaux, y compris une manifestation culturelle engageante préparée par l'AFH. Quant au dîner d'adieu, tenu au Pavillon Dauphine, il ne restait pas une seule place libre.

La FMH et ses hôtes, l'AFH, remercient les participants au Congrès de leur soutien – c'est grâce à eux que le Congrès mondial 2012 de la FMH s'est avéré un succès sur toute la ligne. Le Congrès a été le moyen idéal de lancer la célébration du 50^e anniversaire et de réfléchir sur les réalisations de la communauté mondiale des troubles hémorragiques. Nous attendons avec impatience le prochain Congrès qui aura lieu à Melbourne, en Australie, en 2014. ■

DIFFUSION WEB DES SÉANCES DU CONGRÈS

Les délégués inscrits au Congrès peuvent voir retransmises sur le Web certaines séances du programme du Congrès mondial 2012 de la FMH. Les organisations nationales membres, les employés des centres de traitement de l'hémophilie et les membres de la FMH auront aussi accès au service de diffusion Web à compter d'octobre 2012. Les émissions incluent des présentations multimédia intégrales avec diapositives animées, la reproduction des déplacements du pointeur laser utilisé par le conférencier et des vidéos imbriquées. Des diapositives PowerPoint peuvent être téléchargées pour certaines discussions.

Visitez www.wfh.org/congress pour

accéder aux webcasts du Congrès mondial 2012 de la FMH.

Il est aussi possible de voir les émissions sur les appareils portables Apple et Android en utilisant l'application **TALKS on the GO™**. Veuillez visiter www.talksonthego.com ou télécharger l'application depuis l'App Store d'Apple ou un magasin de Google Play.



Si vous avez de la difficulté à accéder aux webcasts, veuillez écrire à l'équipe d'assistance MULTIWEBCAST à l'adresse support@multiwebcast.com

MARK W. SKINNER MET EN CAUSE LES MODÈLES DE SOINS ACTUELS POUR SATISFAIRE LES BESOINS DANS LE MONDE

Elizabeth Myles

DIRECTRICE DES COMMUNICATIONS ET DES POLITIQUES D'INTÉRÊT PUBLIC DE LA FMH

Lors de la séance d'ouverture du Congrès mondial 2012 de la FMH, Mark W. Skinner, président (2004-2012) de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH), a évalué les pratiques actuelles et les modèles de traitement de l'hémophilie et des troubles de coagulation connexes, lesquels touchent une personne sur mille à l'échelle mondiale.

« Le traitement a beaucoup changé depuis 1963, lorsque la FMH a été fondée, a-t-il dit. Nous sommes à l'aube d'une autre révolution thérapeutique, avec des percées sur tous les fronts d'ici les prochaines années, allant de cryoprécipité viroinactivé, aux biosimilaires, à des produits à action plus longue et à la perspective concrète d'une cure grâce à la thérapie génique. »

Skinner a déclaré que le moment est venu de repenser les définitions de la prise en charge optimale. Il a remis en question les théories actuelles quant au niveau minimum souhaitable de facteur de coagulation, soit 1 %. Il a suggéré que ce niveau devrait être progressivement amené à 3, à 5, et voire éventuellement à 15 fois le niveau actuel pour prévenir complètement les saignements et les lésions articulaires.

« De nos jours, patients et cliniciens ont été conditionnés à accepter que la progression d'aigu

à modéré de l'état du patient est le point final désirable de la thérapie de remplacement conventionnelle. » De fait, cette norme découle de ce qui était réalisable compte tenu des contraintes touchant l'approvisionnement en produits, des réalités économiques et de la demi-vie des produits. « Les décisions de traitement devraient être motivées par l'amélioration de la qualité de vie des patients, et non par des considérations liées à l'économie ou à l'approvisionnement », a-t-il conclu.

Skinner s'est ensuite attaqué à l'obstacle qu'il y a à fournir un traitement optimal à prix abordable. Il a encouragé les fabricants à adopter un nouveau modèle d'entreprise contemporain, basé sur un volume élevé et des marges moindres. Il a aussi enjoint aux pouvoirs publics, aux bailleurs de fonds et aux fabricants d'être prêts à relever le défi en élargissant l'accès au marché et en adoptant des solutions d'affaires axées sur le marché pour ce faire. »

Skinner a noté que les pays moins bien nantis connaissent des défis encore plus grands, en raison du coût élevé des produits. Il s'est appuyé sur les données recueillies par la FMH au cours des 10 dernières années pour montrer que les patients de pays pauvres sont beaucoup moins susceptibles d'être diagnostiqués et soignés, ou de survivre jusqu'à l'âge adulte.

Pour marquer le 50^e anniversaire de la FMH en 2013, Skinner a annoncé que la Fédération

va renouveler pour une autre décennie son programme de l'Alliance mondiale pour le progrès (AMP) et compte dépister 50 000 nouveaux patients atteints de troubles hémorragiques d'ici 2022, dont la moitié dans des pays moins bien nantis ou mal desservis.

La FMH va aussi lancer un nouveau programme, l'initiative Pierre angulaire, qui lui permettra de travailler dans les pays les plus pauvres pour améliorer des aspects de base des soins et jeter les fondements du développement des soins. Ce plan de 10 ans cible spécifiquement les pays et régions du monde auparavant moins bien desservis et où l'écart thérapeutique est le plus grand. Il mettra l'accent sur les pays qui se situent à la limite inférieure du spectre économique pour y créer les bases qui serviront à développer les soins futurs. Le programme privilégiera l'amélioration des capacités de diagnostic, la formation de base concernant la prise en charge des troubles de la coagulation, et le renforcement des organisations de patients.

Cette séance plénière était particulièrement importante pour M. Skinner, qui achevait son dernier mandat en tant que président de la FMH lors du Congrès. ■

Pour voir le webcast de cette plénière, visitez www.wfh.org/congress.

À gauche : Mark W. Skinner, président de la FMH (2004-2012). À droite : M. Skinner présente sa plénière dans le grand amphithéâtre.



D'ÉMINENTS EXPERTS DU MONDE ENTIER PARLENT DES DERNIÈRES AVANCÉES AU PLAN DE LA RECHERCHE ET DU TRAITEMENT

Le Congrès mondial 2012 de la FMH n'a pas manqué de s'inscrire dans la forte tradition de partage des connaissances et de compréhension croissante des troubles de coagulation héréditaires au cours des nombreuses séances médicales et pluridisciplinaires. Voici quelques faits saillants du Congrès de cette année.

Dre Alison Street

CO-PRÉSIDENTE DU COMITÉ MÉDICAL SCIENTIFIQUE DU CONGRÈS MONDIAL 2012 DE LA FMH

LA THÉRAPIE GÉNIQUE

Le Dr Ted Tuddenham (Royaume-Uni) a présenté les données issues du premier essai clinique réussi de la thérapie génique appliquée à l'hémophilie B, un succès sans précédent dans le domaine du transfert de gène qui a fait les manchettes internationales en fin d'année dernière. Le Dr Tuddenham n'est pas étranger à la science de pointe : il faisait partie de l'équipe qui a séquencé la molécule du facteur VIII, ce qui a conduit au clonage du gène du facteur VIII et aux traitements très efficaces et sécuritaires qui existent aujourd'hui pour soigner les personnes atteintes d'hémophilie A.

NOUVEAUX PRODUITS DE TRAITEMENT

De nombreuses séances ont porté sur les nouveaux produits thérapeutiques. Lors d'un atelier, la Dre Flora Peyvandi (Italie) a présenté des données sur les nouveaux médicaments obtenus par génie biologique, qui font l'objet d'études de phase I, II et III. Ces nouveaux produits présentent parfois une demi-vie dramatiquement plus longue que les produits recombinants et les concentrés dérivés de plasma dont l'utilisation est actuellement agréée, et il est probable que les molécules de facteur VIII / facteur IX qui seront produites dans l'avenir donneront des résultats comparables. La mesure de ces molécules présentera de nouveaux défis pour l'industrie, les régulateurs et les soignants.

Le sujet a été approfondi pendant une séance consacrée aux sciences de laboratoire. La procédure pour établir les normes internationales (IS) visant les facteurs de coagulation évolue puis les 50 dernières années, selon le Dr Trevor Barrowcliffe (Royaume-Uni). Ces normes sont essentielles pour le diagnostic précis des troubles de coagulation, la mesure de la récupération post-infusion, et l'étiquetage concernant la puissance des produits de traitement – des procédés qui seront mis en cause dans un proche avenir avec l'arrivée de nouvelles options thérapeutiques.

Depuis la création des premières normes internationales instituées par l'Organisation mondiale de la Santé (OMS), les produits recombinants et les concentrés dérivés de plasma sont étiquetés en unités internationales (UI). Cette approche, qui simplifie les calculs pour le dosage de remplacement et la perfusion en période de récupération, s'est avérée fort efficace avec le temps, a déclaré le Dr Anthony Hubbard (Royaume-Uni). Cependant, les nouveaux produits de traitement, qui ont été modifiés pour améliorer le rendement de fabrication ou prolonger la demi-vie plasmatisque, mettront en cause l'approche traditionnelle en matière d'étiquetage par rapport aux normes internationales de l'OMS. Les autorités réglementaires et les fabricants devront s'entendre sur la méthode à utiliser pour quantifier l'activité coagulante afin de maintenir une approche globalement harmonieuse. Alors qu'il devrait être possible de conserver l'étiquetage en UI pour certains produits, pour d'autres, il pourrait être nécessaire d'avoir recours à d'arbitraires « unités spécifiques au produit », compte tenu de l'activité biologique *in vitro*.

PROPHYLAXIE

Le Dr Peter Collins (Royaume-Uni) a présenté des preuves que la prophylaxie personnalisée est le traitement recommandé pour les personnes atteintes d'hémophilie grave, mais qu'elle présente des défis cliniques et financiers. Le Dr Collins a fait un survol des stratégies de traitement prophylactique adapté aux particuliers, et a montré que le traitement à faible dose plus fréquente peut à la fois réduire le coût du produit et améliorer l'efficacité de la thérapie de remplacement régulière.

INHIBITEURS

Le Dr Jan Astermark (Suède) a abordé la difficile question de savoir pourquoi certains hémophiles développent des anticorps inhibiteurs. Il a présenté des données provenant d'une étude de la génétique des inhibiteurs en hémophilie qui suggèrent qu'il pourrait être possible d'opérer un dépistage génétique pour identifier les patients qui risquent de développer des inhibiteurs avant le début du traitement. Il s'est aussi penché sur des nouvelles options thérapeutiques moins coûteuses, comme la prophylaxie à faible dose, et sur comment elles peuvent être mises en œuvre avec davantage d'efficacité.

L'étude multicentrique CANAL, qui a porté sur une cohorte rétrospective, et l'étude prospective PedNet, ont constaté que l'âge moyen auquel les patients développent des inhibiteurs est de 15 mois. Par contre, avec ajustement pour tenir compte des facteurs confondants, il s'est avéré que l'âge lors de l'exposition initiale au produit n'était pas un facteur de risque. Les chercheurs dans le cadre de CANAL ont constaté que la chirurgie était potentiellement un facteur de risque important pour les inhibiteurs, et que la prophylaxie a entraîné une réduction de 50 % du développement d'inhibiteurs chez les patients atteints d'hémophilie A sévère. Toutefois, l'étude de cohorte RODIN a montré que l'incidence cumulative d'inhibiteurs ne diminuait pas avec l'utilisation croissante de la prophylaxie.

« Plus les attentes du patient sont proches de ses réalisations sont proches, meilleure est la qualité de la vie. »

— Dre Sylvia von Mackensen



À gauche : Alec Miners parle des justifications économiques de la prophylaxie pendant la séance sur les modèles prophylactiques. À droite : La Dre Paula Bolton-Maggs, pendant une séance sur les troubles de coagulation rares.

« La FMH a une occasion unique de développer un programme de calibre international ... en collaboration avec d'autres groupes internationaux qui ont plus d'expérience dans le domaine de la recherche. »

— Dr David Lillicrap

L'induction de tolérance immunitaire

L'induction de tolérance immunitaire (ITI) peut réussir à éliminer les inhibiteurs chez la majorité des patients, à condition qu'elle soit initiée peu après le développement de l'inhibiteur, selon le Dr Charles Hay (Royaume-Uni).

Historiquement, les taux de succès signalés pour différentes études de l'ITI étaient influencés par la sélection des patients et le biais de déclaration. Les taux de réussite varient selon que les patients ne suivent pas l'ITI suffisamment longtemps et selon la définition du succès, les points finaux de l'étude et le schéma thérapeutique utilisé pendant les études. Le Dr Hay a indiqué que les facteurs de prédiction des résultats montrent que plus l'âge est bas lorsque l'ITI débute, meilleurs sont les résultats, et que l'interruption de l'ITI diminue gravement le taux de réussite.

Traitement des saignements chez les patients présentant des inhibiteurs

De nombreuses variables doivent être prises en considération pour traiter les hémorragies aiguës chez les patients qui présentent des inhibiteurs. Le coût, le site et la gravité de l'hémorragie, le niveau d'inhibiteur, l'efficacité et la sécurité du produit, et l'âge du patient doivent tous être considérés, a déclaré le Dr Alessandro Gringeri (Italie).

La rapidité d'intervention est l'élément critique dans la gestion de l'hémorragie. Là où la réponse clinique obtenue n'est pas appropriée, nous pouvons poursuivre le même traitement. Cependant, en l'absence de réponse, il faut

augmenter la dose ou envisager un produit différent, a rapporté le Dr Gringeri.

La Dre Roseline d'Orion (France) a déclaré qu'obtenir l'hémostase chirurgicale chez les patients présentant des inhibiteurs est un défi. L'hémostase est réalisable à la fois avec le rFVIIa et FEIBA, pour les chirurgies électives et d'urgence. Il faut tenir compte du coût des produits qui requiert la chirurgie, lequel est plus élevé pour les patients qui présentent des inhibiteurs, et de la variabilité interindividuelle de l'efficacité des différents produits. Un traitement prolongé visant à minimiser le risque de saignement post-opératoire est souvent nécessaire, ce qui peut être difficile à réaliser dans les pays où les ressources sont très limitées.

L'ÉVALUATION DES RÉSULTATS

Le Dr Brian Feldman (Canada) a expliqué comment l'application des outils normalisés de mesure des résultats dans le cadre de la pratique clinique de routine permet aux cliniciens d'être plus objectifs pour évaluer l'efficacité de certains traitements chez les personnes atteintes d'hémophilie, ce qui peut améliorer la qualité des soins. Le Dr Feldman a donné des exemples d'outils spécifiques pour mesurer les issues des traitements

hémophiliques qui ont des utilisations pratiques dans les milieux cliniques.

Outils d'évaluation de la santé musculo-squelettique

Les Drs Pradeep M. Poonoose et Shyamkumar N. Keshava, MD (Inde) ont abordé les limitations de certains « anciens » outils d'évaluation des résultats. Le Dr Poonoose affirme qu'il faut d'abord choisir ce qui doit être mesuré – la structure ou la fonction. « Les scores radiologiques sans informations sur l'état fonctionnel peuvent amener le chercheur à poser des hypothèses erronées. » Le Dr Keshava a ajouté : « La radiographie fournit une évaluation de base et peut montrer des modifications ostéochondrales, mais non les changements touchant les tissus mous. L'IRM est plus complexe et donne des résultats supérieurs pour ce qui est du détail des tissus mous et des changements ostéocartilagineux, et l'échographie peut être utilisée pour évaluer les changements des tissus mous, et elle est relativement peu coûteuse. »

Qualité de vie liée à la santé

« Plus les attentes du patient sont proches de ses réalisations sont proches, meilleure est la qualité de la vie », a affirmé la Dre Sylvia von Mackensen (Allemagne). « L'évaluation des écarts peut être utile pour définir des besoins de santé spécifiques », a-t-elle dit.

La Dre Kathelijn Fischer (Pays-Bas) a déclaré que le traitement doit être individualisé pour obtenir les meilleurs résultats pour le patient. « Regardez l'historique des saignements du patient, intervenez agressivement, et engagez un dialogue avec le patient et l'équipe », a-t-elle dit.

« Regardez l'historique des saignements du patient, intervenez agressivement, et engagez un dialogue avec le patient et l'équipe. »

— Dre Kathelijn Fischer



Scores de saignement

Le Dr Alberto Tosetto (Italie) a présenté une analyse des outils d'évaluation quantitative des saignements, y compris le Vicenza BAT, qui évalue l'épistaxis, les symptômes cutanés, les plaies mineures, les saignements dans la cavité buccale et l'hémorragie sur une échelle de gravité variant de un à trois. Les données montrent que ces outils peuvent être utilisés pour décrire les phénotypes hémorragiques, à des fins de recherche et de diagnostic de la maladie de von Willebrand. Leur utilisation

pour d'autres troubles hémorragiques reste à valider.

L'HÉPATITE C (VHC)

Le Dr Fabien Zoulim (France), un expert reconnu en matière de traitement antiviral et de résistance aux médicaments, a discuté de l'élaboration d'outils non invasifs pour évaluer le stade de fibrose hépatique, ainsi que d'un nouveau régime trithérapie qui a donné lieu à des améliorations significatives dans le traitement des patients naïfs infectés par le génotype 1 du VHC, par rapport à

l'étalon-or que constituent les actuels protocoles à base d'interféron et de ribavirine. Des mises à jour sur les essais cliniques en cours, dont un sur les patients infectés par le VIH et le VHC, ont également été présentées.

LES SOINS COMPLETS

La communauté de l'hémophilie a été un pionnier dans le développement d'une approche globale des soins aux patients, et ce modèle est le fondement de la stratégie de prise en charge des maladies chroniques qui est largement utilisé dans les soins de santé aujourd'hui. Lors de la séance sur l'élaboration des modèles de traitement de l'hémophilie, il a été question des ressources humaines et financières nécessaires pour fournir des soins complets et le rôle central de ce modèle dans le plan stratégique 2012-2014 de la FMH et son programme de recherche.

PROGRAMME DE RECHERCHE DE LA FMH

Lors de sa séance plénière, le Dr David Lillicrap (Canada) a présenté le nouveau programme de recherche de la FMH, qui vise à fournir un soutien infrastructurel aux cliniques d'observation et à d'autres études et enquêtes entreprises dans le monde sur les troubles de coagulation héréditaires.

« La FMH a une occasion unique de développer un programme de calibre international consacré à la recherche sur les maladies hémorragiques, a déclaré le Dr Lillicrap. En collaboration avec d'autres groupes internationaux qui ont plus d'expérience dans le domaine de la recherche, par exemple la Société internationale



En haut, à gauche : Des délégués assistent à une séance pendant le Congrès. En haut, au centre : Carlos Gaitan-Fitch, du Mexique, prend la parole pendant la séance sur les aspects économiques des soins hémophiliques. En haut, à droite : La Dre Alison Street, parlant de l'élaboration de modèles de soins hémophiliques. À gauche, au centre : Le Dr David Lillicrap parle du programme de recherche de la FMH. À gauche, en bas : (G à D) : Le Dr Paul Giangrande, David Page, Brian O'Mahony, et le Dr Jan Astermark, pendant le débat "Les deux côtés".



de thrombose et l'hémostase, la FMH fournit des données internationales complémentaires pour promouvoir avec succès la découverte de connaissances dans le domaine des troubles de coagulation héréditaires. »

LES FEMMES PRÉSENTANT DES TROUBLES HÉMORRAGIQUES

« Les troubles de coagulation qui touchent les femmes sont débilissants, constituent un lourd fardeau économique et peuvent être mortels s'ils ne sont pas soignés », a déclaré la Dre Rochelle Winikoff (Canada). Elle a ajouté que la mise en place d'une équipe de soins multidisciplinaire garantit au patient des soins de qualité.

En mettant en place une équipe pluridisciplinaire, la Dre Winikoff pose cinq incontournables : définir les besoins des patients et des cliniciens, tenir compte du contexte et des ressources, jeter une base solide en apprenant à connaître les acteurs et leurs rôles, établir des procédures opérationnelles et s'assurer d'un financement assuré.

Ann-Marie Nazzaro (É.-U.) a déclaré que les femmes connaissent des problèmes de saignement uniques à chaque étape de la vie. Les Centers for Disease Control and Prevention affichent une croissance soutenue des femmes inscrites dans les centres de traitement de l'hémophilie. Selon une étude récente, 52 % des femmes atteintes d'un trouble de saignement sont maintenant diagnostiquées à l'âge de 12 ans.

TROUBLES DE COAGULATION RARES

En dépit de progrès dans le diagnostic et le traitement des troubles de coagulation rares, il reste encore beaucoup à faire. « Il est très important de fournir des informations et de l'éducation aux patients et aux médecins afin que ces troubles soient correctement diagnostiqués et soignés », a déclaré la Dre Paula Bolton-Maggs (Royaume-Uni). Le diagnostic de laboratoire demeure un défi considérable dans de nombreuses régions du monde, même pour la maladie de von Willebrand, qui n'est pas une maladie rare. Il est également important de réaliser que tous ces troubles touchent autant les femmes que les

« Il est très important de fournir des informations et de l'éducation aux patients et aux médecins afin que ces troubles soient correctement diagnostiqués et soignés ... Le diagnostic de laboratoire demeure un défi considérable dans de nombreuses régions du monde, même pour la maladie de von Willebrand. »

— Dre Paula Bolton-Maggs

hommes (à parts égales), contrairement à l'hémophilie A et B. »

« Nous devons continuer à élaborer des méthodes de sensibilisation dans les pays où ces maladies sont plus répandues, pour augmenter le taux de diagnostic et travailler avec notre industrie et d'autres partenaires pour assurer le développement et la distribution de produits de traitement pour ces populations. »

LES DIMENSIONS ÉCONOMIQUES DU TRAITEMENT DE L'HÉMOPHILIE

Les registres nationaux ne servent pas seulement à appuyer le diagnostic et le traitement. Ils peuvent aussi être de puissants outils économiques dans un environnement des soins de santé qui se soucie de plus en plus des coûts et du besoin de les limiter. La Dre Angelika Batorova (Slovaquie) a affirmé que les données montrent que les pays à faible revenu comme la Slovaquie, la Croatie et l'Iran qui ont des registres nationaux bien organisés ont aussi des taux de diagnostic de l'hémophilie et d'utilisation de facteur VIII comparables à ceux des pays à revenu élevé.

Keith Tolley (Royaume-Uni) a déclaré que les registres nationaux peuvent capter des informations sur la qualité de vie des patients, ce qui est un élément clé de l'évaluation des technologies de santé (ETS). Ces évaluations aident les gouvernements et les autres bailleurs de fonds à estimer la valeur des soins thérapeutiques et des médicaments en examinant leurs conséquences à court et à long terme au plan de la santé et de l'utilisation des ressources. À ce stade, les données

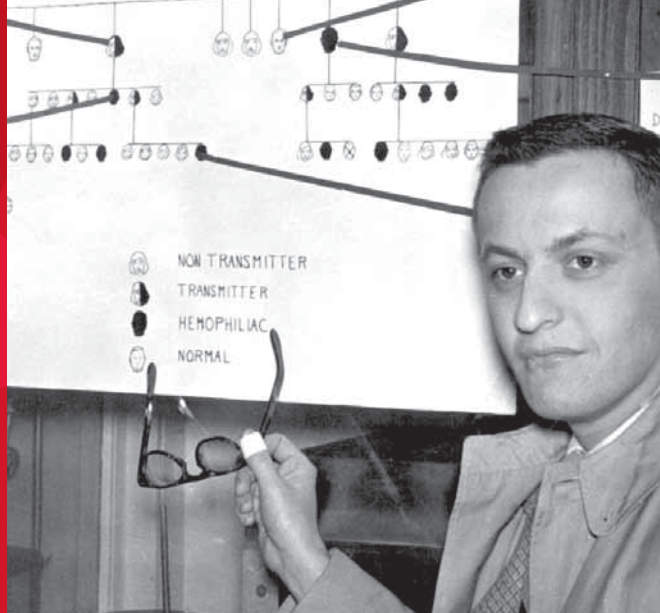
sur le rapport coût-efficacité sont limitées et peu concluantes, et il faut donc encourager les registres nationaux à recenser des données qui se prêtent à une telle analyse.

Daniel Arnborg (Suède) a décrit la première évaluation nationale des technologies de santé pour l'hémophilie qui a été menée en Suède. Elle comprenait une étude de l'utilisation et de l'efficacité clinique des produits de facteur VIII. Les résultats ont notamment confirmé que la prophylaxie est efficace, mais qu'il n'y a pas suffisamment de preuves quant au coût optimal et à la posologie cliniquement efficace. Fait intéressant, il n'y a pas de registre national en Suède, et le rapport de l'évaluation recommandait d'en créer un pour soutenir une analyse plus approfondie. ■

Des webcasts et autres ressources, dont le compte rendu du Congrès et les résumés, sont versés dans le site www.wfh.org. Nous apprécions aussi vos commentaires et suggestions concernant le contenu du programme du Congrès mondial 2014 de la FMH. Pour plus d'informations sur la façon d'accéder aux webcasts du Congrès mondial 2012 de la FMH, voyez la page 2 de ce numéro.

50

ANS CONSACRÉS
À AMÉLIORER
LE TRAITEMENT
POUR TOUS



www.wfh.org/50

LA FMH LANCE LE 50^e ANNIVERSAIRE ET LA CAMPAGNE COMBLER L'ÉCART

50 ANS CONSACRÉS À AMÉLIORER LE TRAITEMENT POUR TOUS

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) a été fondée il y a presque 50 ans par Frank Schnabel, un homme d'affaires montréalais atteint d'hémophilie A sévère. M. Schnabel avait pour vision d'améliorer le traitement et la prise en charge des « centaines de milliers d'hémophiles » dans le monde grâce à l'œuvre d'une nouvelle organisation internationale.

Le 25 juin 1963, Frank Schnabel invitait les représentants de 12 pays à Copenhague, au Danemark. On connaît la suite. Aujourd'hui, la FMH représente les organisations nationales de patients de 122 pays.

Lors du Congrès mondial 2012 de la FMH, nous avons donné le coup d'envoi aux célébrations d'anniversaire en diffusant le premier d'une série de 12 balados vidéo. *La coalition gagnante*, produit et réalisé par Marilyn Ness, raconte comment un

régime de soins durables a été bâti au Sénégal et comment les médecins, les dirigeants d'organisations de patients, les gouvernements, les bénévoles et la FMH travaillent de front pour améliorer les soins. La vidéo a été versée dans YouTube et dans le site Web de la FMH. D'autres viendront compléter la série en 2012 et 2013.

Pour marquer le 50^e anniversaire de la FMH, des articles vedettes commémoratifs paraîtront en 2012 et 2013 dans *Haemophilia*, la revue officielle de la FMH. Ces articles rendront compte de moments décisifs associés au traitement de l'hémophilie, comme les souvenirs de Margareta Blombäck au sujet de ses recherches sur la maladie de von Willebrand, l'histoire d'Ulla Hedner sur le développement du facteur VII activé, et bien d'autres.

Des ressources pour le 50^e anniversaire sont offertes au site www.wfh.org/50.

COMITÉ HONORIFIQUE DU 50^e ANNIVERSAIRE

Baxter
Bayer
Biogen Idec Hemophilia
Biotest
BPL
CSL Behring
Green Cross
Grifols
Inspiration Biopharmaceuticals
Kedrion
LFB
Novo Nordisk
Octapharma
Pfizer
Sanquin

La FMH remercie ses partenaires commerciaux d'appuyer son 50^e anniversaire.

CE QUE VOUS POUVEZ FAIRE POUR FÊTER LE 50^e ANNIVERSAIRE :

- Partagez vos histoires, photos et souvenirs de la FMH
- Montrez les balados vidéo à vos membres ou ajoutez les liens dans votre site Web
- Célébrez l'histoire de votre organisation et son évolution avec la FMH
- Participez à la Journée mondiale de l'hémophilie 2013, consacrée au 50^e anniversaire de la FMH
- Inscrivez-vous à www.wfh.org pour recevoir les dernières nouvelles concernant les activités du 50^e anniversaire

75%

DES PERSONNES AYANT UN TROUBLE DE COAGULATION REÇOIVENT DES SOINS INADÉQUATS, QU'AND ELLES NE SONT PAS ENTIÈREMENT PRIVÉES DE SOINS

QUE FAUDRA-T-IL POUR COMBLER L'ÉCART?



COMBLER L'ÉCART

Depuis sa fondation en 1963, la FMH a fait des progrès remarquables en ce qui concerne l'amélioration des soins offerts aux personnes atteintes de troubles de coagulation. Néanmoins de grands besoins ne sont toujours pas satisfaits. Les trois quarts des personnes atteintes d'un trouble de coagulation demeurent privées de soins adéquats, voire de soins tout court. Dans beaucoup des régions les plus pauvres du monde, les gens ne sont ni diagnostiqués ni soignés; des millions d'hommes, de femmes et d'enfants continuent de souffrir inutilement.

Pour répondre à ces besoins, la FMH a lancé une campagne de trois ans pour combler l'écart en matière de soins. Mark W. Skinner, co-président de cette campagne, a annoncé la campagne Comblent l'écart et le financement connexe de 5 millions de dollars lors de la cérémonie d'ouverture du Congrès mondial 2012 de la FMH. Comblent l'écart financera des programmes de la FMH fondés sur les succès du passé, y compris la deuxième décennie du programme de l'Alliance mondiale pour le progrès (AMP) et la nouvelle initiative Pierre angulaire qui élargira les interventions de la FMH dans des régions auparavant mal desservies qui, pour le moment, sont privées des normes de soins ou des infrastructures requises pour bénéficier pleinement des programmes de la FMH comme l'AMP. Cette nouvelle initiative permettra de jeter les fondements qui serviront à ancrer le développement futur des soins dans les régions ciblées.

Des intervenants clés de la FMH ont manifesté un dévouement extraordinaire à la campagne. Tous les dirigeants bénévoles de la FMH se sont engagés à appuyer l'initiative. De même, les organisations nationales membres des 12 pays qui étaient à la table pour la création de la FMH en 1963 ont fait une promesse. Les sept commanditaires de l'AMP ont pris des engagements pluriannuels et un autre commanditaire de l'AMP s'est joint à ce partenariat. Lors du lancement de la campagne, M. Skinner a interpellé les délégués au Congrès mondial 2012 de la FMH et l'ensemble de la communauté des troubles de coagulation: « Nous avons besoin de votre aide pour combler l'écart, pour rassembler le dernier million. » Jan Willem André de la Porte, mécène de la Fédération, a parlé de son expérience avec l'hémophilie et a pris un engagement personnel pour inspirer d'autres à donner.

« En tant que personne atteinte d'hémophilie née à une époque où cette maladie était largement inconnue, j'ai vécu dans la douleur et la peur de l'inconnu, a dit André de la Porte. Aujourd'hui, je sais que la douleur est évitable. Il y a de l'espoir. Si des soins de base solides sont mis en place, le développement durable est réalisable. » M. Skinner a terminé par ces mots: « Aucun don n'est trop petit ou trop grand. Chaque dollar compte. S'il vous plaît joignez-vous à nous. Faites partie de la vision. Ensemble, nous comblerons l'écart. » ■

COMITÉ DE LA CAMPAGNE COMBLER L'ÉCART

CO-PRÉSIDENTS

Mark W. Skinner,
président de la FMH (2004 – 2012)
Jan Willem André de la Porte,
mécène de la FMH

MEMBRES DU COMITÉ HONORIFIQUE DE LA CAMPAGNE REPRÉSENTANT LES PRÉSIDENTS DE LA FMH

Frank Schnabel,
président de la FMH (1963-1987)
Frank Schnabel, III
Gina Schnabel
Marie-France VanDamme

Charles Carman,
président de la FMH (1988-1993)
Patsy Carman

Brian O'Mahony,
président de la FMH (1994-2004)

CHEF DE LA DIRECTION ET DIRECTEUR GÉNÉRAL DE LA FMH
John E. Bournas

VICE-PRÉSIDENT AUX FINANCES
Eric E. Stolte

La promesse du mécène : LES DONNÉS SERONT TRIPLÉS

Jan Willem André de la Porte a annoncé un remarquable défi à toute la communauté des troubles de coagulation – que chaque dollar donné à la campagne, à partir du Congrès, sera complété par une contribution de 2 pour 1. « Je m'engage à verser un demi-million de dollars, mais cette somme seule ne suffit pas. Nous devons tous contribuer. J'espère que la promesse que j'ai faite vous incitera à donner généreusement afin qu'ensemble, nous comblerons l'écart des soins et réalisons notre vision du traitement pour tous. »

Vous pouvez faire un don à la campagne Comblent l'écart de la FMH en visitant www.wfh.org/closethegap.

Jan Willem André de la Porte lance le défi du mécène



Comité honoraire du 50^e anniversaire



Gauche à droite: Hommage aux lauréats pendant la cérémonie de remise des prix d'honneur; Gina Schnabel et Mark W. Skinner remettent à Martha Patricia Monteros Rincón le prix international de bénévolat Frank Schnabel; la Dre Alison Street remet au Dre Christine Lee le prix d'excellence de la FMH pour l'ensemble de ses réalisations.

LA FMH REND HOMMAGE À DES BÉNÉVOLES EXCEPTIONNELS

Sarah Ford

CHARGÉE DES COMMUNICATIONS DE LA FMH

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) a tenu une cérémonie de remise des prix lors de son Congrès mondial 2012 pour reconnaître la contribution des bénévoles exceptionnels qui l'appuient partout dans le monde.

Le prix Inga Marie Nilsson, parrainé par Octapharma, est remis à une personne qui a fait preuve de leadership et d'initiative hors du commun dans le cadre d'un projet qui contribue à l'avancement de la mission de la FMH. Il a été présenté au **Dr Alok Srivastava** (Inde) en reconnaissance de ses nombreuses contributions à la communauté des troubles de coagulation et à la FMH, notamment la révision des *Lignes directrices pour la prise en charge de l'hémophilie* de la FMH. C'est la deuxième fois qu'il se mérite cet honneur.

Piet de Kleijn (Pays-Bas) a reçu le prix Pietrogrande. Ce prix souligne l'apport remarquable d'un membre de la profession médicale à la réalisation de la mission et des buts du Comité sur la santé musculo-squelettique de la FMH. Le **Dr Horacio Caviglia** (Argentine) a remporté le Prix commémoratif Henri Horoszowski. Son article intitulé « Pseudotumor surgery in haemophilia A patients: Comparative results between inhibitor and non-inhibitor patients » a été choisi par le Comité sur la santé musculo-squelettique.

Le **Dr Edward G. Tuddenham** (R.-U.) a reçu le prix Henri-Chaigneau décerné par l'Association française des hémophiles en reconnaissance de ses travaux de recherche clinique dans les domaines du clonage du gène du facteur VIII, des mutations du gène du facteur VIII, de la thérapie par le gène de facteur IX et de multiples autres aspects des hémostasies et de leurs pathologies.

Les prix de jumelage de l'année sont décernés annuellement par la FMH afin de souligner les partenariats de jumelage les plus exceptionnels

d'organisations de l'hémophilie et de centres de traitement. Le Programme de jumelage de la FMH, qui est commandité par Pfizer, jette des ponts entre des organisations de l'hémophilie et des centres de traitement de pays développés et de pays en développement pour encourager l'échange de compétences, de ressources et d'information.

Deux doublets de centres de traitement jumelés se sont mérités un prix pour 2010 : il s'agit, d'une part, de la **section locale de Delhi de la Société de l'hémophilie** (Inde) et du **Manitoba Pediatric Bleeding Disorders Program** (Canada) et, d'autre part, de l'**Université de Yaoundé** (Cameroun) et de l'**Université de Genève** (Suisse). Le prix des organisations jumelées de l'année 2010 a été présenté à l'**Association tunisienne de l'hémophilie** et à la **section locale du Québec de la Société canadienne de l'hémophilie**.

Pour 2011, les honneurs sont allés aux centres de traitement jumelés **Estella Pediatric Hematooncology Center Manado** (Indonésie) et **Van Creveldkliniek, University Medical Center Utrecht** (Pays-Bas) et aux organisations jumelées suivantes : l'**Association cambodgienne de l'hémophilie** et la **Fondation de l'hémophilie de la Nouvelle-Zélande**.

Alexandra Johnson (É.-U.) et **Aleksandra Ilijin** (Serbie) ont obtenu les bourses d'études du fonds commémoratif Susan Skinner en 2011 et 2012 respectivement. La bourse a été créée en tant que fonds de dotation pour soutenir la formation et l'éducation des jeunes femmes ayant un trouble de coagulation ou qui sont porteuses et qui, en raison de leurs qualités de chef hors du commun, ont le potentiel de devenir des leaders dans leur pays et de futurs leaders au sein de la communauté des troubles hémorragiques.

Plusieurs nouveaux prix ont été inaugurés à cette année. Le Prix de reconnaissance en plaidoyer, lancé en 2010 dans le cadre du programme

Le plaidoyer en action et financé par Baxter, a pour objectif de mettre en évidence une campagne de plaidoyer réussie qu'a menée une organisation nationale membre de la FMH. Cette année, il a été remis à la **Federación de Hemofilia de la República Mexicana** en reconnaissance de la campagne de plaidoyer menée pour obtenir des traitements et soins gratuits pour les enfants âgés de moins de 10 ans qui sont atteints d'hémophilie ou de la maladie de von Willebrand et qui n'ont pas de protection d'assurance.

Le prix du jeune chercheur, décerné à des chercheurs âgés de moins de 35 ans qui ont présenté des résumés hautement cotés lors du Congrès, a été obtenu par **Benjamin Bluth** (É.-U.); **Corien Eckhardt** (Pays-Bas); **Samantha Gouw** (Pays-Bas); **Perrine Limerg** (Pays-Bas); et **James Porter** (R.-U.).

Le prix Christine Lee pour l'*Haemophilia Journal* est aussi un nouvel ajout. Il sera décerné chaque année à partir de 2013 à un jeune chercheur en reconnaissance du meilleur article publié dans la revue officielle de la FMH au cours de l'année civile. Il est parrainé par Wiley-Blackwell et est complété par un prix de 3000 \$US.

La **Dre Christine Lee** (R.-U.), fondatrice de l'*Haemophilia Journal*, a obtenu le prix d'excellence de la FMH pour l'ensemble de ses réalisations. C'est la deuxième fois que ce prix est attribué depuis qu'il a été créé en 2006. Lee était consultante et directrice du Centre d'hémophilie et du service d'hémostase Royal Free de 1987 jusqu'à sa retraite en 2005. Elle est aussi la rédactrice d'origine de la revue *Haemophilia* lancée en 1995. Elle est professeure émérite en hémophilie à l'Université de Londres et elle a publié plus de 300 articles scientifiques revus par des pairs au sujet de l'hémophilie. Elle a aussi édité huit livres, y compris le *Textbook of Hemophilia*.

Piet de Kleijn (Pays-Bas) a reçu le Prix international pour les bénévoles en soins de santé. **de**



Jan Willem André de la Porte exécute le tirage quotidien au centre de ressources de la FMH.

AIDER À COMBLER L'ÉCART AU CONGRÈS 2012

Antonietta Colavita

GESTIONNAIRE DE LA CAMPAGNE ANNUELLE DE LA FMH

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) tient à dire un merci résonnant aux plus de 200 délégués qui ont participé au lancement de la campagne Comblers l'écart lors du Congrès mondial 2012 à Paris.

Le Congrès a permis de réunir pas loin de 40 000 \$US pour aider à combler l'écart thérapeutique dans le monde, avec des dons allant de 20 centimes à 5 000 \$US.

Nous tenons à remercier tout particulièrement Jan Willem André de la Porte, mécène de la FMH, pour sa générosité exceptionnelle et son défi inspirant. Il a en effet complété à raison de 2 pour 1 chaque dollar reçu en don pendant le Congrès. Son geste a donc triplé chaque contribution, ce qui a porté le total des fonds levés lors du Congrès mondial 2012 de la FMH à la somme remarquable de 120 000 \$US!

Visitez notre page Facebook pour voir les photos de délégués au Congrès laissant leur marque sur la mappemonde de la FMH.

Vous pouvez faire un don en tout temps en visitant www.wfh.org. L'engagement du mécène de la FMH tient toujours. Autrement dit, la valeur de votre don sera triplée!

Félicitations aux gagnants de la campagne choisis pendant le Congrès :

- Les tirages quotidiens ont été remportés par Julie Heinrich (É.-U.), Debbi Adamkin (É.-U.) et Woet L. Gianotten (Pays-Bas).
- Uroš Brezavšček (Slovénie) a remporté le grand prix comprenant le voyage aller-retour, l'hébergement et l'inscription au Congrès mondial 2014 de la FMH à Melbourne, en Australie.
- Le Panama a décroché la Coupe du monde de la FMH en tant que pays ayant le plus de cœur (selon le nombre de donateurs pendant le

Congrès, par rapport au chiffre de population du pays). Le Canada a fini en deuxième place (gagnant en 2010), et le Bahreïn en troisième.

Nous remercions l'Association française des Hémophiles et la Fondation de l'hémophilie de l'Australie qui ont fait don des prix pour les tirages.

Plus de 60 délégués ont acheté ou renouvelé leur adhésion à la FMH pendant le Congrès. En l'honneur du 50^e anniversaire de la FMH, la période d'adhésion de ces membres sera bonifiée de 50 %. Ils bénéficient donc de 18 mois d'abonnement au prix de 12. En outre, cinq abonnements à *Haemophilia*, la revue officielle de la FMH, ont été tirés au sort. Nous félicitons Claudia S. Lorenzato (Brésil); Shubhranshu S. Mohanty (Inde); Esther Muntu (Indonésie); Pamela Narayan (Inde); et David Stephensen (Royaume-Uni). La FMH remercie Wiley-Blackwell d'avoir offert ces abonnements gratuits.

Visitez www.wfh.org et inscrivez-vous pour en savoir plus sur les avantages offerts à nos membres. ■

Nous sommes profondément reconnaissants à tous ceux qui ont contribué à faire du Congrès mondial 2012 de la FMH le plus réussi jusqu'à présent. Ensemble, nous allons combler l'écart.



Des délégués pointent leur lieu d'origine sur la carte de la FMH.

Kleijn est un membre dévoué de la communauté des troubles de coagulation depuis de nombreuses années. Depuis 1979, il pratique et étudie la physiothérapie dans les hôpitaux des Pays-Bas. Il a aussi été très engagé au sein de la FMH, en tant que bénévole et membre du Comité sur la santé musculo-squelettique, et il a donné des ateliers dans de nombreux pays.

Martha Patricia Monteros Rincón (Mexique) a reçu le **Prix international de bénévolat Frank Schnabel**. Au cours des deux dernières décennies, Monteros a contribué à améliorer l'accès aux soins et au traitement pour les personnes atteintes de troubles de coagulation au Mexique. Elle a milité pour obtenir des soins assurés pour les enfants de son pays qui ont des troubles de coagulation, et elle a fait la promotion des soins et de traitement pour tous les patients du pays. Il était particulièrement significatif que Gina Schnabel, la fille de Frank Schnabel, était l'un des présentateurs de ce prix.

La cérémonie de remise des prix de la FMH s'est terminée par un touchant hommage à **Mark W. Skinner**, qui a été président de la FMH de 2004 à 2012. Le Dr Bruce Evatt, qui en 2006 recevait le prix d'excellence de la FMH pour l'ensemble de ses réalisations, a remercié M. Skinner de son dévouement et de son engagement au nom de l'ensemble de la communauté mondiale des troubles de coagulation. Il a évoqué le souci de M. Skinner pour les patients dans les pays en développement et la réponse passionnée qui a caractérisé l'exercice de ses fonctions pendant les huit dernières années. Il a remis à M. Skinner un livre-souvenir qui réunit des photos et des témoignages de personnes qu'il a rencontrées ou avec lesquelles il a travaillé pendant son temps avec la FMH. Les délégués se sont levés pour l'applaudir.

La FMH tient à féliciter tous les lauréats de 2012. Elle remercie Aris Hashim, président du Comité des prix d'honneur de la FMH, d'avoir été l'hôte de cette cérémonie. Pour les photos et plus d'information, visitez www.wfh.org. ■

LES DÉLÉGUÉS À LA JEUNESSE DE LA FMH SE FONT ENTENDRE À LA FORMATION POUR LES ONM

Anabella Zavagno

COORDONNATRICE DE PROGRAMME DE LA FMH, JUMELAGE ET FORMATION POUR LES ONM

Plus de 100 participants venus de 85 pays ont suivi la formation de la FMH pour les organisations nationales membres (ONM) qui s'est tenue à Marne-la-Vallée, en France, du 5 au 7 juillet. Il y avait beaucoup de nouveaux visages à la formation, dont 15 délégués à la jeunesse qui avaient reçu des bourses de la FMH et deux récipiendaires des bourses du Fonds commémoratif Susan Skinner.

À une époque où bien des associations ont de la difficulté à mobiliser les jeunes, il était inspirant d'observer l'enthousiasme et l'engagement manifestés par ces jeunes leaders. « Ces jeunes sont prêts à assumer un rôle plus important au sein de leurs propres sociétés, » a déclaré Deon York

(Nouvelle-Zélande), animateur de l'atelier et membre du Comité de direction de la FMH.

Les séances de formation visaient à aider les dirigeants d'organisations de patients à enrichir leurs compétences et leurs connaissances au fil d'ateliers et d'exposés sur des sujets comme la recherche clinique, la levée de fonds, la participation des jeunes, l'évaluation organisationnelle, la gestion des conflits, et le plaidoyer.

Le film *Blood Bad: A Cautionary Tale*, qui relate la pandémie du VIH au sein de la communauté hémophile américaine, a été présenté. Après le film, Marilyn Ness, qui a produit et réalisé le métrage,



David Silva Gomez (à gauche) anime une discussion lors de l'atelier de formation pour les ONM.

Mark W. Skinner, président de la FMH (2004-2012), Val Bias, directeur général de la National Hemophilia Foundation, et Radoslaw Kaczmarek, membre du conseil de la Société de l'hémophilie la Pologne, ont animé une discussion sur la valeur du film comme outil pour sensibiliser et faire valoir l'importance d'inclure le patient dans les décisions de traitement et de soins qui le concernent. ■

LA RÉVISION DES GUIDELINES FOR THE MANAGEMENT OF HEMOPHILIA PARAÎT DANS HAEMOPHILIA

Jennifer Laliberté

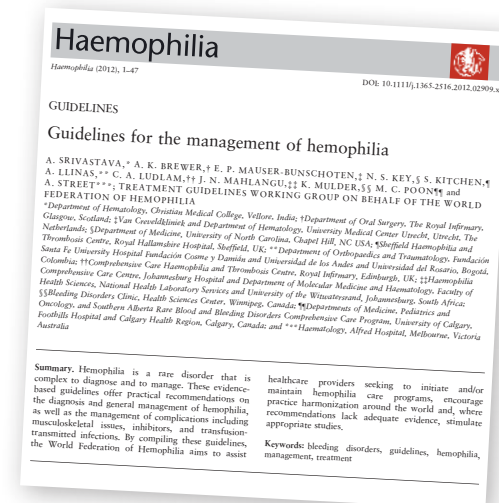
GESTIONNAIRE DU MATÉRIEL ÉDUCATIF DE LA FMH

L'hémophilie est une maladie rare qui est difficile à diagnostiquer et à soigner. En compilant la deuxième édition de ses *Guidelines for the Management of Hemophilia*, la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) a voulu fournir des directives pratiques, fondées sur des données probantes, aux prestataires de soins de santé, aux autorités gouvernementales et aux organisations de patients qui cherchent à mettre en place ou à maintenir des programmes de soins hémophiliques. Nous espérons aussi que ces directives seront propices à l'harmonisation des pratiques à l'échelle mondiale et que, là où elles ne sont pas appuyées par une preuve suffisante, elles donneront lieu à des études appropriées.

La première édition des *Guidelines for the Management of Hemophilia*, publiée en 2005 par la FMH, s'est avérée utile à ceux qui cherchent des informations de base sur la prise en charge globale de l'hémophilie. Une révision s'est toutefois imposée pour plusieurs raisons, la plus urgente étant le besoin d'étayer les directives présentées avec la meilleure des preuves existantes. Il existe en effet des données récentes de haute qualité,

issues d'essais contrôlés randomisés, qui confirment l'efficacité et la supériorité de la thérapie prophylactique par remplacement de facteur comparativement au traitement épisodique, par exemple. Il y a aussi une reconnaissance accrue de la nécessité de mieux évaluer les résultats du traitement de l'hémophilie en utilisant des instruments clinimétriques nouvellement développés, validés et spécifiques à une maladie. Cette version révisée aborde ces questions et inclut des mises à jour nécessaires à toutes les autres sections.

La question de l'applicabilité universelle, étant donné la diversité des services de santé et des systèmes économiques dans le monde, mérite un examen attentif. Notre point de vue est ferme : nous considérons que les principes de la prise en charge de l'hémophilie sont universels. Les différences touchent principalement les doses de facteur de coagulation utilisées pour traiter ou prévenir les saignements, étant donné que le coût des produits de remplacement représente la plus grosse dépense des programmes de traitement de l'hémophilie. Les lignes directrices, pour refléter cette réalité, continuent de prévoir deux séries de données posologiques pour la thérapie de remplacement des concentrés de facteur de coagulation. Elles sont basées sur la littérature publiée et les



pratiques qui ont cours dans les grands centres de traitement du monde. Toutefois, les doses inférieures recommandées peuvent ne pas donner les meilleurs résultats possibles, et elles devraient servir de point de départ pour les soins administrés dans des contextes où les ressources sont limitées, avec l'intention d'évoluer peu à peu vers les doses optimales de concentrés, selon les données probantes et la disponibilité accrue des produits. ■

La FMH remercie le Dr Alok Srivastava et leur groupe de travail d'experts pour leur travail acharné et leur dévouement à ce projet. Les lignes directrices révisées sont maintenant disponibles dans la revue *Haemophilia* à l'adresse www.wfsh.org.



Gauche: Les Émirats arabes unis sont accueillis comme organisation nationale membre de la FMH. Droite: Le vote des ONM pendant l'assemblée générale de 2012.

UN NOUVEAU PRÉSIDENT, DES NOUVELLES ORGANISATIONS NATIONALES MEMBRES ET L'EMPLACEMENT DES PROCHAINS CONGRÈS POUR L'ASSEMBLÉE GÉNÉRALE

Sarah Ford

CHARGÉE DES COMMUNICATIONS DE LA FMH

Lors de sa 31^e Assemblée générale tenue le 13 juillet, la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) a accueilli cinq nouvelles organisations membres (ONM), ce qui porte à 122 le nombre total de pays représentés. Les organisations nationales de patients de l'Afghanistan, de l'île Maurice, du Monténégro, de l'Ouganda et des Émirats arabes unis ont été admises en tant qu'organisations nationales membres associées. En outre, les organisations membres associées du Cameroun, du Kirghizstan, d'Oman et du Qatar sont devenues des organisations nationales membres à part entière.

Alain Weill (France) a été élu président de la FMH lors de l'Assemblée générale. Un article lui est consacré en première page. D'autres membres ont été élus au Comité de direction, y compris le Dr Alok Srivastava (Inde), en tant que vice-président médical; Eric Stolte (Canada), vice-président aux finances; les Drs Magdy El Ekiaby (Égypte) et Alessandro Gringeri (Italie) en tant que membres médicaux, et David Silva (Espagne) et Pam Wilton (Canada), en tant que membres non professionnels. Après l'Assemblée générale, Margareth Castro Ozelo (Brésil) a été désignée par le Conseil de direction afin de terminer le mandat deux ans de vice-président médical laissé vacant par l'élection du Dr Srivastava. En outre, Carlos Márquez Safadi (Argentine) a été coopté au Conseil de direction de la FMH.

Les ONM ont aussi voté sur l'emplacement des Congrès mondiaux de 2016 et 2018. La National Hemophilia Foundation (NHF) a proposé d'accueillir le Congrès mondial 2016 de la FMH à Miami, en Floride, et la proposition a été retenue. La Société de l'hémophilie du Royaume-Uni a obtenu le droit d'organiser le Congrès mondial 2018 de la FMH à Glasgow, en Écosse. En choisissant dès cette année l'emplacement du Congrès mondial 2018, la FMH sera en mesure d'annoncer les dates plus tôt et d'éviter d'éventuels conflits avec d'autres réunions.

NOUVELLES ORIENTATIONS STRATÉGIQUES

Le Conseil de direction et le personnel ont présenté des nouvelles initiatives stratégiques à l'Assemblée générale. John E. Bournas, chef de la direction et directeur général, a survolé le nouveau plan stratégique, qui s'appuie sur les réussites passées et les points forts de l'organisation. Alison Street, vice-présidente médicale de la FMH (2008-2012), a parlé de l'accent mis par la FMH sur la recherche axée sur les résultats et du nouveau programme de recherche de la Fédération. Les objectifs du programme comprennent l'établissement d'une collecte efficace des données dans les centres de traitement de l'hémophilie pour suivre les issues de santé des patients et en rendre compte, en plus de mener des études d'observation de base sur les troubles de coagulation et d'élargir la capacité mondiale de mener des recherches.

Mark W. Skinner, président de la FMH (2004-2012) a également décrit les nouveaux projets qu'entreprind la FMH pour améliorer les soins dans les pays en développement. Cela comprend le lancement de la prochaine décennie du programme de l'Alliance mondiale pour le progrès (AMP), ainsi que l'initiative Pierre angulaire, qui cible les régions mal desservies et pauvres du monde pour y établir des capacités de base en diagnostic et en prise en charge des troubles de coagulation, et renforcer les organisations de patients.

MERCI AUX MEMBRES SORTANTS DU CONSEIL

Le mandat de plusieurs membres du Conseil de direction est échu à l'assemblée générale. Au nom de la communauté mondiale des troubles de coagulation, nous les remercions des services qu'ils ont rendus à la FMH.

Mark W. Skinner, *président de la FMH*
Dre Alison Street, *vice-présidente médicale de la FMH*
Rob Christie, *vice-président aux finances de la FMH*

Dre Paula Bolton Maggs, *membre médical*
Johnny Mahlangu, *membre médical*

Nous vous remercions de votre engagement, votre leadership et votre inspiration. ■

CONSEIL DE DIRECTION DE LA FMH 2012-2014

PRÉSIDENT
Alain Weill

VICE-PRÉSIDENT MÉDICAL
Dr Alok Srivastava

VICE-PRÉSIDENT AUX FINANCES
Eric E. Stolte

VICE-PRÉSIDENT AUX PROGRAMMES
Dr Nigel S. Key

VICE-PRÉSIDENT CHARGÉ DES ONM DE LA FMH
Aris Hashim

VICE-PRÉSIDENT AUX COMMUNICATIONS ET AUX POLITIQUES D'INTÉRÊT PUBLIC
Dr Magdy El Ekiaby

COMITÉ DE DIRECTION
Dre Margareth Castro Ozelo
Dr Alessandro Gringeri
Carlos Safadi Márquez
Thomas Sannié
David Silva Gomez
Pamela Wilton
Deon York

CHEF DE LA DIRECTION ET DIRECTEUR GÉNÉRAL
John E. Bournas

DES BÉNÉVOLES DÉVOUÉS ET DES CONCENTRÉS DE FACTEUR REÇUS EN DON S'AVÈRENT INDISPENSABLES PENDANT LE CONGRÈS

Maria Carolina Arango

CHARGÉE DE PROGRAMME – AIDE HUMANITAIRE ET
AGRÈMENT

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) s'est jointe à l'Association française des hémophiles (AFH) pour veiller à ce que toutes les personnes atteintes d'un trouble de coagulation aient facilement accès au traitement pendant la formation pour les ONM, le Congrès mondial 2012 de la FMH et l'Assemblée générale de la FMH.

Au total, 681 000 unités internationales (UI) de facteur de coagulation ont été généreusement fournies par Baxter, Bayer Healthcare, CSL Behring, le LFB, Novo Nordisk, Octapharma, et Pfizer pour utilisation dans la salle de traitement pendant les activités.

Une équipe de médecins, d'infirmières et de physiothérapeutes bénévoles dévoués ont joué un rôle clé en veillant au succès de la planification et du fonctionnement de la salle de traitement. Les patients qui se sont rendus à la salle de traitement ont d'abord été accueillis par un médecin qui les a examinés avant de prescrire leur traitement et de les aiguiller au besoin vers la salle de physiothérapie intégrée. Des fauteuils roulants ont aussi été mis à la disposition des patients pour élargir l'accessibilité du Congrès.

La FMH tient à remercier les donateurs de leur engagement continu envers la salle de traitement. Elle est très reconnaissante à l'AFH et à l'équipe exceptionnelle de professionnels de la santé pour le service hors pair qu'ils ont fourni. ■



Des infirmières et préposés dans la salle de soins.



Le kiosque de l'AFH dans la salle des expositions.

MERCI

Michelle Grady

CHARGÉE DES COMMUNICATIONS DE LA FMH

Le Congrès mondial 2012 de la FMH ne se serait jamais concrétisé sans le travail acharné et la volonté de l'Association française des hémophiles (AFH), qui en était l'hôte, et d'un groupe dévoué de bénévoles locaux.

Nous devons accorder une reconnaissance particulière à l'AFH, l'hôte du Congrès, qui a généreusement consacré beaucoup de temps et d'efforts pour assurer le succès indéniable du Congrès. Composée presque entièrement de bénévoles, l'AFH est l'un des membres fondateurs de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) et membre du Consortium européen de l'hémophilie.

« Cela a été un grand honneur pour l'AFH d'accueillir cette importante rencontre scientifique, a déclaré Norbert Ferré, président du Congrès et président de l'AFH. Il reconnaît non seulement l'engagement de tous les bénévoles au sein de l'organisation, mais aussi l'expertise de l'AFH, et celle de la communauté scientifique française et des autorités sanitaires qui nous soutiennent. »

Près de 70 bénévoles ont été recrutés et formés par l'AFH, sous la direction et avec l'encadrement de Michel Du Laurent de la Barre. Les bénévoles ont préparé les trousseaux des délégués, répondu aux questions des délégués au sujet du programme du Congrès, distribué le quotidien *Hemophilia Daily*, et accueilli les délégués au Congrès chaque jour avec enthousiasme et attention.

La FMH remercie également les commanditaires du Congrès. La liste complète des commanditaires est fournie à la page 16. Au moment de tourner la page sur ce plus réussi de ses congrès jusqu'à présent, la FMH tient à remercier tous ceux qui ont donné de leur temps et de leur énergie – sans eux, il n'y aurait pas eu de Congrès. ■





Des bénévoles français devant le Palais des Congrès.

WWW.WFHH.ORG

 Devenez membre

 Trouvez un centre de traitement

 Consultez la bibliothèque

 Jouez à HemoAction

 Lisez Le monde de l'hémophilie

 Consultez le journal Haemophilia

Venez découvrir le nouveau www.wfh.org ...

Visitez le site révisé et refondu de la FMH

Consultez plus de 300 titres en six langues dans le centre de publications

Inscrivez-vous et créez un profil pour pouvoir vous abonner aux bulletins de la FMH, faire des dons et mettre à jour vos coordonnées

Découvrez les fonctions médias sociaux intégrées, y compris les vidéos versées dans notre chaîne YouTube

Accédez aux dernières nouvelles de l'après-Congrès : photos, webcasts, lauréats des prix d'honneur, et plus



The screenshot shows the homepage of the World Federation of Hemophilia (FMH). At the top, there is a navigation bar with the FMH logo and the tagline '50 ANS CONSACRÉS À AMÉLIORER LE TRAITEMENT POUR TOUS'. Below this, there is a search bar and a main banner featuring a large red '50' and the text '50 ANS CONSACRÉS À AMÉLIORER LE TRAITEMENT POUR TOUS'. The banner also includes a photo of a man and the text 'La Fédération mondiale de l'hémophilie améliore et perpétue les soins pour les personnes atteintes de troubles de coagulation héréditaires partout dans le monde.' Below the banner, there are several news items: 'LA FMH ÉLIT UN NOUVEAU PRÉSIDENT', 'HOMMAGE À MARK W. SKINNER', and 'VISITEZ LE SITE'. On the right side, there is a 'Faire un don' button and social media links for Facebook, Twitter, and YouTube.



FMH **50** ANS CONSACRÉS À AMÉLIORER LE TRAITEMENT POUR TOUS

FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOFILIE
World Federation of Hemophilia
Federación Mundial de Hemofilia

COMMANDITAIRES DU CONGRÈS MONDIAL 2012 DE LA FMH

COMMANDITAIRES D'ENSEMBLE

Baxter
Bayer HealthCare
CSL Behring



COMMANDITAIRES PLATINE

Baxter
Bayer HealthCare
Biogen Idec Hemophilia /SOBI
CSL Behring
LFB
Novo Nordisk
Octapharma
Pfizer

COMMANDITAIRES OR

Grifols
Inspiration Biopharmaceuticals

SUPPORTEURS

Biotest AG
Green Cross
Kedrion

Président

Alain Weill

Comité de rédaction

Antonio Almeida
Marion Berthon-Elber
John E. Bournas
Cheryl D'Ambrosio
Masood Fareed
Sarah Ford
Michelle Grady
Shelley Mattson
Craig T. McEwen
Elizabeth Myles
Dolly Shinhat-Ross
David Silva
Alok Srivastava
Eric Stolte
Alison Street
Alain Weill

Rédactrice

Sarah Ford

Adjointe à la rédaction

Michelle Grady

Collaborateurs

Maria Carolina Arango
Antonietta Colavita
Sarah Ford
Khalil Guliwala
Michelle Grady
Ashwin Kaushal
Jennifer Laliberté
Craig T. McEwen
Elizabeth Myles
Dolly Shinhat-Ross
Alison Street
Anabella Zavagno

Conception graphique

Em Dash Design

Production de la version imprimée

AS Lithographe

Le monde de l'hémophilie est publié trois fois par année 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 en www.wfh.org

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

CALENDRIER 2012

ATHN Data Summit 2012

20-21 septembre 2012 – Chicago, É.-U.

The American Thrombosis and Hemostasis Network (ATHN)

Tél. : +1-800-360-2846

Courriel : info@athn.org

Association pour la thrombose et l'hémostase pédiatriques (15^e séminaire)

17 octobre 2012 -

Amiens, France

Tél. : 03.22.66.89.50

Courriel : pautard.brigitte@chu-amiens.fr

Congrès 2012 du CEH

26-28 octobre 2012 -

Prague, République tchèque

Consortium européen de l'hémophilie

Courriel : info@conferenceorganisers.ie

www.ehc2012.eu

HAA-APSTH 2012

29-31 octobre 2012 -

Melbourne, Australie

Haematology Society of Australia (HAA)

Tél. : +61 8 8363 1307

Courriel : haa@fcconventions.com.au

www.fcconventions.com.au

www.fcconventions.com.au/HAA2012/

64^e Assemblée annuelle de la NHF

8-10 novembre 2012 - Orlando, É.-U.

National Hemophilia Foundation
www.hemophilia.org

Journée mondiale du sida

1^{er} décembre 2012

Fonds national d'affectation pour le sida

www.worldaidsday.org

Assemblée annuelle de l'ASH

8-11 décembre 2012 - Atlanta, É.-U.

American Society of Hematology

Tél. : +202-776-0544

Courriel : ashregistration@jspargo.com

www.hematology.org

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 l'ensemble du monde des troubles de la coagulation. Nous sollicitons articles, lettres et suggestions. Veuillez les envoyer à :

La rédaction, *Le monde de l'hémophilie*

Fédération mondiale de l'hémophilie

1425, boul. René-Lévesque Ouest, bureau 1010

Montréal, Québec

H3G 1T7, Canada

Courriel : sford@wfh.org