



**FMH**

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



**Qu'est-ce que la  
prophylaxie ?**

Publié par la **Fédération mondiale de l'hémophilie** (FMH) © Fédération mondiale de l'hémophilie, 2021

La FMH encourage la traduction et la diffusion de ses publications à des fins pédagogiques par des organisations à but non lucratif spécialisées dans l'hémophilie et les troubles de la coagulation.

Pour obtenir l'autorisation de reproduire, redistribuer ou traduire cette publication, vous devez contacter le service Recherche & Éducation à l'adresse ci-dessous.

La présente publication est disponible au format PDF sur le site Internet de la FMH : [www.wfh.org](http://www.wfh.org).

Vous pouvez également commander des exemplaires supplémentaires en vous connectant sur le site Internet de la FMH ou en écrivant à l'adresse ci-dessous.

#### **Fédération mondiale de l'hémophilie**

1425 René Lévesque Boulevard Ouest,  
Bureau 1200, Montréal,  
Québec H3G 1T7, CANADA  
Tél. : (514) 875-7944  
Fax : (514) 875-8916  
Courriel : [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)

[www.wfh.org](http://www.wfh.org)

La Fédération mondiale de l'hémophilie ne pratique pas la médecine et ne recommande en aucun cas de traitement quelconque à des personnes en particulier. La FMH ne fait aucune déclaration, expresse ou implicite, quant à l'exactitude de la posologie des médicaments ou des autres recommandations thérapeutiques mentionnées. Pour ces raisons, il est fortement recommandé de demander l'avis d'un médecin ou de consulter les notices imprimées que le laboratoire pharmaceutique fournit avant d'administrer l'un des médicaments mentionnés dans la présente publication. La Fédération mondiale de l'hémophilie n'encourage pas à utiliser de produits thérapeutiques ni à faire appel à des fabricants en particulier. Toute mention d'un nom de produit ne saurait être interprétée comme une marque de soutien par la FMH.

# Table des matières

|   |  |
|---|--|
| Qu'est-ce que la prophylaxie ?.....1                        | Quand commencer et arrêter la prophylaxie ? .....6 |
| Pourquoi la prophylaxie est-elle recommandée ?.....2        | Conseils en matière de prophylaxie.....7           |
| Quels sont les types de prophylaxie ? .....3                | Carnet de santé de l'hémophilie .....8             |
| Qu'administre-t-on dans le cadre d'une prophylaxie ? .....4 | Journal de bord de votre traitement.....9          |

# Qu'est-ce que la prophylaxie ?

La prophylaxie consiste à administrer régulièrement (par voie intraveineuse, sous-cutanée ou autre) un agent hémostatique afin de prévenir tout saignement (notamment en cas de saignements articulaires répétés ou d'hémorragie engageant le pronostic vital) chez les personnes atteintes d'hémophilie. L'objectif de la prophylaxie est de permettre aux personnes atteintes d'hémophilie de mener une vie active et de bénéficier d'une qualité de vie comparable à celle des personnes indemnes de l'hémophilie.

La prophylaxie devrait constituer le traitement de référence partout dans le monde. La recommandation clinique de la prophylaxie découle de l'observation scientifique des données des patients selon lesquelles les personnes atteintes d'hémophilie modérée ou mineure (avec un taux de facteur de coagulation égal ou supérieure à 1 %) présentent beaucoup moins de saignements spontanés. Elles présentent moins de lésions articulaires que les personnes atteintes d'hémophilie sévère (dont le taux est inférieur à 1 %) et ont une meilleure qualité de vie.

**LE  
SAVIEZ-  
VOUS ?**

À long terme, la complication la plus courante de l'hémophilie est la maladie articulaire.



# Pourquoi la prophylaxie est-elle recommandée ?

Contrairement au traitement à la demande, qui est une réponse réactive visant à arrêter un saignement *en cours*, la prophylaxie est administrée pour *prévenir* les saignements *avant* qu'ils ne se produisent.

Le traitement à la demande peut réduire la douleur et l'impact débilant des saignements individuels, mais il ne peut pas modifier de manière significative le profil des saignements. Par conséquent, il ne modifie pas la progression naturelle de l'arthropathie hémophilique, qui entraîne des lésions musculo-squelettiques et d'autres complications dues aux saignements. La prophylaxie est toujours recommandée et privilégiée par rapport à un traitement à la demande, l'idéal étant que les personnes atteintes d'hémophilie ne saignent à aucun moment (c'est-à-dire qu'elles parviennent à un saignement « zéro »), car chaque saignement peut causer des lésions, notamment au niveau des articulations.

Les études sur la prophylaxie montrent que :

- Le maintien d'un taux résiduel de facteur au-dessus de 1 % grâce à des injections régulières de concentrés de facteur de coagulation (CFC) réduit le risque de saignement et prévient les lésions articulaires
- Les enfants et les adultes qui bénéficient d'une prophylaxie saignent moins et leurs articulations sont donc plus saines

Les médecins recommandent aux personnes atteintes d'hémophilie A ou B qui présentent un profil hémorragique sévère de suivre une prophylaxie suffisante pour prévenir les saignements à tout moment. Ce traitement doit être personnalisé, en tenant compte de ce qui suit :

- Le profil de saignement
- L'état des articulations
- La façon dont le métabolisme du patient traite l'agent hémostatique
- Les préférences personnelles et l'évaluation de l'efficacité de la prophylaxie

**LE  
SAVIEZ-  
VOUS ?**

La prophylaxie ne contribuera pas au rétablissement des articulations déjà endommagées.

Toutefois, elle permettra de diminuer la fréquence des saignements et est susceptible de ralentir la progression des maladies articulaires et d'améliorer la qualité de vie.



# Quels sont les types de prophylaxie ?

Il existe plusieurs types de prophylaxie, en fonction du moment où la prophylaxie débute.

## LA PROPHYLAXIE CONTINUE

est administrée régulièrement sur une période de plusieurs mois et souvent de plusieurs années :

### La prophylaxie primaire

est commencée avant toute maladie articulaire documentée, et avant le deuxième saignement articulaire pour les enfants âgés de trois ans et moins.

### La prophylaxie secondaire

est commencée après au moins deux saignements articulaires (mais avant toute maladie articulaire), généralement pour les enfants âgés de trois ans et plus.

### La prophylaxie tertiaire

est mise en place après le diagnostic d'une maladie articulaire.

## LA PROPHYLAXIE INTERMITTENTE OU PONCTUELLE

est mise en place pendant de courtes périodes, généralement quelques semaines ou quelques mois, notamment après une intervention chirurgicale ou dans le cadre d'une prise en charge par un kinésithérapeute ou une rééducation.

Pour les enfants atteints d'hémophilie A ou B sévère, il est **recommandé** de démarrer la prophylaxie avant l'âge de 3 ans pour **prévenir les maladies articulaires**. Il est également recommandé de **démarrer la prophylaxie** chez les adolescents et les adultes atteints d'hémophilie présentant des lésions articulaires, afin de réduire les saignements articulaires et les hémorragies spontanées et intercurrentes et ralentir la progression de la maladie articulaire.

Adaptation : recommandations 6.1.2 et 6.1.3 des Lignes directrices pour la prise en charge de l'hémophilie de la FMH, 3<sup>e</sup> édition

Dans les pays aux ressources sanitaires limitées, la prophylaxie est **recommandée** pour les personnes atteintes d'hémophilie A ou B sévère, même si la seule option est une prophylaxie à faible dose. Cela permettra, tout de même, de réduire les saignements articulaires, ainsi que les autres saignements spontanés et intercurrents et de mieux préserver les articulations.

Adaptation : recommandation 6.10.1 des Lignes directrices pour la prise en charge de l'hémophilie de la FMH, 3<sup>e</sup> édition



# Qu'administre-t-on dans le cadre d'une prophylaxie ?

En matière de prophylaxie, les options thérapeutiques incluent, à l'heure actuelle, les traitements avec facteurs de remplacement à demi-vie standard et à demi-vie prolongée et les traitements sans facteurs de remplacement. Au moment de la publication du présent document, il n'existe qu'un seul traitement sans facteur de remplacement pour les personnes atteintes d'hémophilie A, alors que plusieurs traitements avec concentrés de facteur de coagulation à demi-vie standard et à demi-vie prolongée sont disponibles pour les personnes atteintes d'hémophilie A ou B.

## TRAITEMENT AVEC FACTEURS DE REMPLACEMENT

La prophylaxie par concentrés de facteur de coagulation à demi-vie standard et à demi-vie prolongée est appelée **traitement substitutif régulier**. Elle implique l'injection régulière des facteurs de coagulation manquants afin d'augmenter les taux de façon à arrêter les saignements (FVIII pour les personnes atteintes d'hémophilie A, et FIX pour les personnes atteintes d'hémophilie B).

La prophylaxie par injection régulière de concentrés de facteur de coagulation tente d'augmenter le taux de facteur déficient et de le maintenir à un niveau supérieur à 1 %. Il existe différents dosages (prophylaxie à forte dose, à dose intermédiaire ou à faible dose), utilisant des concentrés de facteur de coagulation à demi-vie standard et à demi-vie prolongée. Les personnes atteintes d'hémophilie doivent consulter leur médecin traitant ou un centre de traitement de l'hémophilie (CTH) dans le cadre de leur protocole de soins.

Dans le cadre d'une prophylaxie, le protocole de soins doit intégrer les informations suivantes :

- Le type de facteur à administrer
- La fréquence à laquelle le facteur doit être administré
- La dose (le volume) de facteur administré à chaque injection
- L'heure et le jour auquel le facteur doit être administré

## TRAITEMENT AVEC FACTEUR DE REMPLACEMENT À DEMI-VIE PROLONGÉE

Les concentrés de facteur de coagulation à demi-vie prolongée ont été conçus pour maintenir le taux de facteur pendant une durée plus importante. Globalement, les concentrés de facteur de coagulation à demi-vie prolongée permettent aux personnes atteintes d'hémophilie de :

- 1. Réduire le nombre d'injections nécessaires** pour maintenir un niveau de protection similaire à celui obtenu avec les concentrés de facteur à demi-vie standard, ce qui traduit par une meilleure observance du traitement et un plus grand nombre de personnes bénéficiant de la prophylaxie. Cela comprend :
  - Moins de visites au centre de traitement ou d'infirmiers à domicile, notamment au démarrage de la prophylaxie, et un fardeau moins important pour les aidants et les personnes concernées
  - Moins de nécessité de poser un accès veineux central, soit une diminution de la morbidité et une réduction des coûts
  - Des horaires d'injection moins contraignants, soit moins de perfusions le matin ou les jours d'école/de travail
- 2. Augmenter leurs taux de facteur** plus longtemps et obtenir une protection plus élevée contre les saignements avec moins d'injections qu'avec les produits à demi-vie standard, ce qui peut conduire à une meilleure qualité de vie, comme une pratique sportive plus importante sans risque hémorragique accru.

## PROPHYLAXIE PERSONNALISÉE AVEC FACTEUR DE REMPLACEMENT À DEMI-VIE STANDARD ET À DEMI-VIE PROLONGÉE

La prophylaxie personnalisée consiste à adapter le protocole de soins aux besoins de chaque individu : chaque personne atteinte d'hémophilie bénéficie d'une prophylaxie en fonction de ses propres besoins. Elle doit également être suffisamment souple pour évoluer selon les circonstances; si une personne atteinte d'hémophilie continue de saigner, la prophylaxie doit être renforcée (dosage, fréquence, produit ou une combinaison de ces éléments) afin de prévenir les saignements.

Une prophylaxie efficace et personnalisée doit tenir compte des éléments suivants :

- Âge
- Poids
- Modèle et phénotype des saignements
- État articulaire
- Niveau et horaire de l'activité physique
- Taux de facteur de coagulation
- Capacité à observer le protocole de prophylaxie
- Accès veineux
- Préférences personnelles

## TRAITEMENT SANS FACTEUR DE REMPLACEMENT

Les traitements sans facteur de remplacement font appel à d'autres mécanismes d'action qui permettent au métabolisme d'arrêter les saignements dus à un déficit en facteurs de coagulation chez les personnes atteintes d'hémophilie A ou B. Au moment de la publication du présent document (2021), il n'existe qu'un seul médicament commercialisé (emicizumab) comme traitement sans facteur de remplacement du facteur VIII, y compris pour les personnes ayant des inhibiteurs. D'autres traitements sont en cours d'essais cliniques et pourraient arriver sur le marché dans les prochaines années.

Chez les personnes atteintes d'hémophilie A, l'emicizumab ne remplace pas le facteur VIII manquant, mais il imite la fonction du FVIII afin que le processus de coagulation puisse se poursuivre.

**L'emicizumab ne peut être utilisé que dans le cadre d'une prophylaxie visant à traiter l'hémophilie A. Il n'est pas utilisé pour traiter les épisodes hémorragiques aigus.**

Par conséquent, les concentrés de facteur de coagulation seront toujours nécessaires pour traiter de type d'hémorragies.

Les autres avantages de l'emicizumab sont les suivants :

- Administration par voie sous-cutanée (à savoir sous la peau)
- Présence plus longue dans l'organisme, administration moins fréquente (1 fois par semaine ou toutes les 2 ou 4 semaines). Veuillez consulter les instructions prescrites ou votre CTH pour plus d'informations sur le dosage.
- Moindre contrainte du protocole de soins due à une moindre fréquence d'injection, pouvant entraîner une meilleure adhérence au traitement prophylactique

**ATTENTION** : les personnes atteintes d'hémophilie avec inhibiteurs et sous emicizumab ne doivent pas recevoir de concentré de complexe de prothrombine activé pour traiter les épisodes hémorragiques intercurrents car cela peut entraîner un épisode thrombotique. Veuillez consulter votre CTH pour toute question relative à la gestion des risques.

## Quand COMMENCER la prophylaxie ?

Il est préférable de démarrer la prophylaxie le plus tôt possible afin de préserver l'état articulaire et prévenir les maladies articulaires. Lorsque l'accès aux concentrés de facteur de coagulation est limité, il est possible d'administrer des doses plus faibles.

L'administration par voie sous-cutanée peut répondre aux difficultés liées à l'accès aux veines. La prophylaxie peut ainsi commencer à un plus jeune âge et réduire le risque d'hémorragies chez les nourrissons (<12 mois), avant l'âge auquel une prophylaxie est habituellement démarrée. Au moment de la publication du présent (2021), des études sont en cours afin d'évaluer la sécurité de l'emicizumab dans cette population.

## Quand ARRÊTER la prophylaxie ?

Une personne atteinte d'hémophilie dont la prophylaxie est satisfaisante (réduction des épisodes hémorragiques, amélioration de l'état articulaire et de la qualité de vie) devrait poursuivre son traitement indéfiniment.

Il s'agit d'une recommandation soutenue par l'Organisation mondiale de la santé, la Fédération mondiale de l'hémophilie et de nombreuses organisations nationales et internationales concernées par la prise en charge de l'hémophilie.

**Pour les patients atteints d'hémophilie A ou B, en particulier es enfants, le traitement de référence est une prophylaxie régulière à long terme. Cela permettra de prévenir les saignements articulaires et les autres saignements spontanés et intercurrents, maintenir la santé musculo-squelettique et promouvoir la qualité de vie.**

Adaptation : recommandation 6.2.1 des Lignes directrices pour la prise en charge de l'hémophilie de la FMH, 3<sup>e</sup> édition



Source : Lignes directrices pour la prise en charge de l'hémophilie, 3<sup>e</sup> édition (2020). Pour plus d'informations sur la prophylaxie, veuillez consulter les lignes directrices à l'adresse suivante : <https://elearning.wfh.org/resource/lignes-directrices-pour-la-prise-en-charge-de-lhemophilie/>



## Conseils en matière de prophylaxie



### À FAIRE

En cas d'absence de prophylaxie, parler à son médecin ou à son équipe soignante d'une éventuelle mise en place.

Démarrer la prophylaxie le plus tôt possible.

Plaider pour une prophylaxie personnalisée ou sur mesure.

Respecter les doses et le calendrier des injections définies par son médecin ou son équipe soignante.

En cas d'effet indésirable ou de saignement dans le cadre d'une prophylaxie, consulter immédiatement son médecin.

Discuter avec son équipe soignante de la possibilité de mettre en place un traitement à domicile ou d'assurer une prise en charge avec des professionnels de santé de proximité.

Assurer un suivi régulier avec son CTH afin de passer en revue le protocole de soins pour la prophylaxie.

Tenir un registre du traitement, y compris de tout effet indésirable (voir page suivante pour plus de détails).

En cas d'échec de la prophylaxie, consulter son médecin.



### À ÉVITER

Penser qu'il est trop tard pour démarrer une prophylaxie – bien que la prophylaxie ne puisse pas réduire les lésions articulaires, elle peut ralentir leur progression, améliorer la qualité de vie et diminuer la fréquence des saignements.

Manquer ou reporter une injection.

Penser que la prophylaxie peut réduire les lésions articulaires.

Attendre le rendez-vous suivant en cas d'effet indésirable ou de saignement – consulter immédiatement son médecin.

Ignorer les saignements intercurrents, surtout dans la même articulation, car elle pourrait se transformer en articulation cible.

# Carnet de santé de l'hémophilie

En cas de prophylaxie, il est important de consigner les informations suivantes afin que votre médecin puisse assurer votre suivi et veiller à personnaliser et à adapter votre traitement.

Il existe plusieurs façons de garder une trace des épisodes hémorragiques et des traitements :

- 1. Tenir votre propre journal** : il peut s'agir d'un carnet de bord sur papier ou d'un registre électronique. L'important est d'y inclure :
  - a. Date de l'injection
  - b. Traitement à la demande (site du saignement)
  - c. Prophylaxie (site du saignement en cas de saignement intercurrent)
  - d. Nom du produit
  - e. Volume injecté en UI (unités internationales) ou mg
  - f. Numéro de lot
  - g. Effets indésirables
- 2. myWBDR** – Si votre CTH participe au Registre mondial des troubles de la coagulation, vous pouvez utiliser l'application développée pour téléphone portable afin de consigner votre traitement prophylactique et tout épisode hémorragique.

Télécharger l'application ici :

iOS



Android



Veuillez demander à votre CTH la méthode privilégiée. **Voir page suivante pour un journal de bord imprimable.**



# JOURNAL DE BORD DE VOTRE TRAITEMENT

| Nom du patient   | Type de facteur manquant       |                        |                          |                   |                     |                       |
|------------------|--------------------------------|------------------------|--------------------------|-------------------|---------------------|-----------------------|
|                  | Présence/Absence d'inhibiteurs |                        |                          |                   |                     |                       |
| Date d'injection | Nom du produit                 | Volume injecté (UI)/mg | Numéro de lot du produit | Date d'expiration | Effet indésirable ? | Motif de l'injection* |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |
|                  |                                |                        |                          |                   |                     |                       |

\*Injection dans le cadre de la prophylaxie, saignement aigu, (y compris localisation du saignement), etc.

1425 René Lévesque Boulevard Ouest,  
Bureau 1200, Montréal,  
Québec H3G 1T7, CANADA  
Tél. : (514) 875-7944  
Fax : (514) 875-8916  
Courriel : [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)  
[www.wfh.org](http://www.wfh.org)



**FMH**

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