



WBDR
WFH WORLD BLEEDING
DISORDERS REGISTRY

REGISTRE MONDIAL DES TROUBLES DE LA COAGULATION

RAPPORT SUR LES DONNÉES 2022



FMH

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

TABLE DES MATIÈRES

À PROPOS DE LA FMH	2
Mission	2
Source de données	2
Remerciements	2
MESSAGE DU PRÉSIDENT ET DU VICE-PRÉSIDENT MÉDICAL	3
À PROPOS DU RMTC	4
MÉTHODOLOGIE DU RMTC	4
Source des données du rapport	5
Mise en œuvre	5
Comité d'examen institutionnel/comité d'éthique	5
Consentement éclairé	5
Collecte des données et consultations de suivi	5
Données du RMTC	5
Identifiant patient unique	5
Transfert de patients	5
Programme international d'intégration de données	5
Qualité des données	6
Programmes de soutien et de formation des CTH	6
Accès aux données et gouvernance	6
Confidentialité des données	6
À PROPOS DU RAPPORT SUR LES DONNÉES 2022 DU RMTC	7
COMITÉ DIRECTEUR DU RMTC DE LA FMH	7
REPRÉSENTATION MONDIALE AU SEIN DU RMTC, 2022	8
DONNÉES FIGURANT DANS LE RAPPORT 2022 DU RMTC	9
PARTICIPATION	9
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie	11

DONNÉES DÉMOGRAPHIQUES	12
Type et sévérité de l'hémophilie	13
Âge des personnes atteintes d'hémophilie inscrites au RMTC	14
DIAGNOSTIC ET ANTÉCÉDENTS CLINIQUES	15
Âge au moment du diagnostic	15
Âge au premier saignement et au premier saignement articulaire	17
EMPLOI	18
DONNÉES CLINIQUES	19
Saignements	20
Taux de saignements annualisé et taux de saignements articulaires annualisé	21
Articulations cibles	24
Inhibiteurs	25
Hospitalisation	26
TRAITEMENT	29
Prophylaxie	30
PROGRAMME D'ACCRÉDITATION DE LA QUALITÉ DES DONNÉES DU RMTC	32
PROGRAMME INTERNATIONAL D'INTÉGRATION DE DONNÉES	34
PROGRAMME DE SOUTIEN À LA RECHERCHE DU RMTC	35
PROGRAMME DE FINANCEMENT DES CTH DU RMTC	36
APPLICATION MOBILE myWBDR	37
ANNEXE 1 – ENSEMBLE DE DONNÉES	37
ANNEXE 2 – CTH PARTICIPANTS	38
REMERCIEMENTS	40
GLOSSAIRE	41



À PROPOS DE LA FMH

Depuis 60 ans, la FMH, organisation internationale à but non lucratif, travaille à l'amélioration de la vie des personnes atteintes d'hémophilie, de la maladie de Willebrand et d'autres troubles héréditaires de la coagulation. Fondée en 1963, elle constitue un réseau d'organisations de patients dans 147 pays et bénéficie de la reconnaissance officielle de l'Organisation mondiale de la Santé (OMS). Pour en savoir plus sur la FMH, consultez le site www.wfh.org.

.....

LA MISSION DE LA FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE

**AMÉLIORER ET PÉRENNISER LES SOINS AUX
PERSONNES ATTEINTES D'UN TROUBLE HÉRÉDITAIRE
DE LA COAGULATION DANS LE MONDE ENTIER.**

MISSION

REMERCIEMENTS

Aux membres du département Éducation et recherche de la FMH, qui ont contribué à la création de ce rapport :

- Donna Coffin
- Emily Ayoub
- Ellia Tootoonchian
- Pamela Dakik
- Toong Youttanankorn

MESSAGE DU PRÉSIDENT ET DU VICE-PRÉSIDENT MÉDICAL

Mai 2023

Chers membres de la communauté des troubles de la coagulation,

Nous avons le plaisir de vous présenter le Rapport sur les données 2022 du Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC). Ce rapport synthétise la cinquième année d'un effort international visant à recueillir de manière prospective l'expérience clinique réelle des personnes atteintes d'hémophilie dans le monde entier. Nous espérons que ces données soutiendront la recherche et les initiatives de plaidoyer, qu'elles serviront d'outil pour guider les décisions cliniques et qu'elles amélioreront les soins dispensés aux personnes atteintes d'hémophilie dans le monde entier.

Cette année, nous sommes fiers d'annoncer que nous avons atteint notre objectif quinquennal de 10 000 patients inscrits dans le Registre. Au 31 décembre 2022, plus de 11 000 personnes atteintes d'hémophilie provenant de 115 centres de traitement de l'hémophilie (CTH) et de 43 pays à travers le monde se sont jointes à nos efforts pour recueillir ces précieuses données. Dans ce rapport, vous trouverez le résumé agrégé des données pour tous les patients inscrits au RMTC, y compris les données cliniques de 2022.

Au cours de l'année écoulée, de grands progrès ont été réalisés pour élargir la collecte de données dans le cadre du RMTC. Comme les années précédentes, les données de la Tchéquie et de la Thaïlande ont été incluses dans le RMTC par le biais du Programme international d'intégration des données. Depuis septembre 2022, la plateforme du RMTC est disponible en français, en espagnol et en russe, ce qui la rend plus accessible aux utilisateurs du monde entier. Enfin, cette année a été marquée par le lancement de l'application mobile myWBDR, qui permet aux personnes atteintes d'hémophilie de prendre en main le suivi de leur traitement. Ces données permettront d'améliorer la recherche basée sur les résultats rapportés par les patients. Au moment de la publication du présent rapport, la plateforme du RMTC a été développée pour permettre la collecte de données sur les personnes atteintes de la maladie de Willebrand. À l'avenir, le RMTC nous permettra non seulement de faire progresser la recherche, les politiques et la défense des droits des personnes atteintes d'hémophilie, mais aussi des personnes atteintes de la maladie de Willebrand, notamment des femmes et des jeunes filles atteintes de troubles de la coagulation.

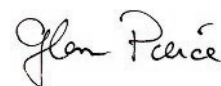
Au nom de la FMH, nous tenons à remercier chaleureusement tous les professionnels de santé dévoués et les personnes atteintes d'hémophilie qui participent à cette importante initiative, et nous nous réjouissons à l'idée de collaborer davantage avec les centres de traitement de l'hémophilie intéressés à participer au RMTC, alors que la FMH poursuit sa mission d'un *Traitement pour tous*.

Nous souhaitons également remercier nos partenaires visionnaires qui nous ont permis de développer ce registre : Sobi et Takeda, ainsi que nos partenaires collaborateurs : Bayer, F. Hoffmann-La Roche, Grifols, Novo Nordisk, Pfizer et Sanofi.

Cordialement,



César Garrido
Président



Glenn Pierce
Vice-président Médical



À PROPOS DU RMTC

Lancé en janvier 2018, le RMTC de la FMH sert de plateforme aux CTH du monde entier pour la collecte de données standardisées sur les personnes atteintes d'hémophilie. Le RMTC est un registre prospectif, longitudinal et d'observation des patients diagnostiqués avec une hémophilie A ou B. Il s'agit d'une base de données qui protège la vie privée et qui permet le recueil des données individuelles des patients, ce qui fournit ainsi un profil clinique de chaque personne atteinte d'hémophilie¹.

LE RMTC EST OUVERT À
**TOUTE PERSONNE ATTEINTE D'HÉMOFILIE A
OU B SUIVIE DANS UN CTH PARTICIPANT.**



MÉTHODOLOGIE DU RMTC

Les CTH participants sont en première ligne du recrutement des personnes atteintes d'hémophilie et de la saisie des données confidentielles et anonymisées des patients dans la base de données du RMTC. La FMH travaille en lien étroit avec tous les CTH intéressés, pour les guider et les assister dans les étapes nécessaires à leur participation au programme, notamment pour obtenir l'approbation d'un Comité d'éthique, recruter les personnes atteintes d'hémophilie et gérer leurs données.

Le RMTC est ouvert à toute personne atteinte d'hémophilie A ou B (tous degrés de sévérité confondus) suivie dans un CTH participant. Les CTH sont invités à proposer à toute personne atteinte d'hémophilie A ou B de leur clinique de s'inscrire au RMTC pour minimiser le risque de biais de sélection. Toutes les personnes atteintes d'hémophilie qui acceptent de participer doivent donner leur consentement éclairé.

SOURCE DES DONNÉES DU RAPPORT

Les données présentées dans le Rapport sur les données 2022 du RMTC sont constituées de données agrégées et anonymisées issues de personnes atteintes d'hémophilie suivies dans un centre de traitement de l'hémophilie (CTH) participant, ayant accepté que leurs données soient saisies dans le Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC).

MISE EN ŒUVRE

La mise en œuvre du RMTC commence dans les CTH. Les CTH candidats sont identifiés avec l'aide de nos organisations nationales membres (ONM), puis invités à s'enregistrer au sein du RMTC, directement par l'intermédiaire de l'équipe du RMTC. Les CTH intéressés peuvent contacter l'équipe du RMTC à l'adresse wbdr@wfh.org. L'équipe reste à la disposition des CTH pour les aider à obtenir l'approbation du comité d'éthique de leur organisation locale.

COMITÉ D'EXAMEN INSTITUTIONNEL /COMITÉ D'ÉTHIQUE

Les centres de traitement de l'hémophilie doivent obtenir l'approbation du comité d'examen institutionnel ou du comité d'éthique de leur institution locale avant d'inscrire des personnes atteintes d'hémophilie au RMTC. Tous les documents relatifs au RMTC requis pour une évaluation éthique sont fournis aux CTH ; des versions traduites sont disponibles sur demande.

CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

Les personnes atteintes d'hémophilie qui souhaitent participer au RMTC doivent être suivies dans un CTH participant et doivent fournir leur consentement éclairé à la saisie de leurs données confidentielles et anonymisées dans le registre. Si une personne atteinte d'hémophilie décide de ne pas participer, elle doit continuer à recevoir le même standard de soins que toutes les autres personnes atteintes d'hémophilie du CTH. Pour les personnes atteintes d'hémophilie participant au RMTC, l'équipe soignante du CTH saisira dans le RMTC les données du patient après chaque consultation.

COLLECTE DES DONNÉES ET CONSULTATIONS DE SUIVI

Les données des patients sont recueillies lors de la consultation de référence (la visite au cours de laquelle les personnes atteintes d'hémophilie donnent leur consentement éclairé) et lors de toutes les consultations cliniques de suivi ultérieures. Lors de la consultation de référence, des données rétrospectives basées sur les six mois précédents sont collectées. Lors de chaque consultation de suivi, les données sont collectées pour la période écoulée depuis la consultation précédente. Cette méthode permet de s'assurer que toutes les données et tous les événements survenus au fil du temps sont bien pris en compte.

DONNÉES DU RMTC

Au moment du lancement du RMTC en 2018, un ensemble minimal de données a été introduit. En février 2019, un ensemble élargi de données (EED) a été développé et implémenté. Les données du présent rapport sont basées à la fois sur des ensembles minimaux et élargis de données (cf. annexe 1).

IDENTIFIANT PATIENT UNIQUE

Grâce à l'utilisation d'un processus de hachage cryptographique, toutes les personnes atteintes d'hémophilie entrées dans le RMTC reçoivent un identifiant patient unique (IPU). L'IPU réduit le risque d'une duplication des saisies dans le RMTC et sera utile pour faire le lien avec d'autres bases de données à l'avenir. Pour en savoir plus sur l'IPU et le processus cryptographique, veuillez consulter le document [Sécurité et confidentialité des données](#).

TRANSFERT DE PATIENTS

Les patients peuvent être transférés d'un CTH participant à un autre dans le RMTC. Cette fonction de transfert est très utile dans les pays où les personnes atteintes d'hémophilie reçoivent des soins dans plusieurs CTH.

PROGRAMME INTERNATIONAL D'INTÉGRATION DE DONNÉES

Le RMTC comprend une composante d'intégration de données internationales, qui permet aux registres existants de l'hémophilie d'importer leurs données directement dans le RMTC et de faire ainsi partie de ce registre international. Pour en savoir plus, voir page 34.



QUALITÉ DES DONNÉES

Le programme d'accréditation de la qualité des données du RMTC vise à améliorer l'exhaustivité, la précision et la cohérence des données saisies dans le RMTC. L'équipe du RMTC travaille en étroite collaboration avec tous les CTH pour assurer que leurs données répondent aux standards de qualité du RMTC.

Pour en savoir plus sur le programme de qualité des données du RMTC, voir page 32.

PROGRAMMES DE SOUTIEN ET DE FORMATION DES CTH

Le programme de soutien et de formation des CTH du RMTC est accessible à tous les CTH participants; cela comprend le Programme de soutien à la recherche et le Programme de financement des CTH. Ces programmes ont été développés pour assurer la réussite du RMTC à long terme. Des formations en présentiel ou des webinaires sont disponibles sur les sujets suivants :

- Le processus d'évaluation éthique
- L'obtention du consentement éclairé
- La saisie de données
- La gestion de la qualité des données
- L'utilisation efficace de données pour la recherche et le plaidoyer

ACCÈS AUX DONNÉES ET GOUVERNANCE

Chaque CTH n'a accès qu'aux données qu'il a saisies dans le RMTC et ne peut pas voir celles saisies par les autres CTH. Chaque année, les données agrégées de tous les CTH participants sont publiées dans le Rapport sur les données du RMTC. L'accès aux données à des fins de recherche et de plaidoyer sera possible sur demande via le Comité de gouvernance de la recherche du RMTC.

CONFIDENTIALITÉ DES DONNÉES

La base de données du RMTC a été élaborée grâce aux efforts communs de la FMH, du Karolinska Institute et de BCB Medical, ces deux derniers étant des organisations basées en Suède. Toutes les informations sur les patients saisies dans le RMTC sont anonymisées et confidentielles. Les recommandations de BCB Medical relatives à la politique sur les données sont conformes aux dispositions européennes (Conformité européenne) et à la norme britannique IG Soc (Information Governance Statement of Compliance) et respectent le Règlement général sur la protection des données (RGPD). Pour en savoir plus, veuillez consulter le document [Sécurité et confidentialité des données](#).

À PROPOS DU RAPPORT SUR LES DONNÉES 2022 DU RMTC

Les données de cette cinquième édition du Rapport sur les données du RMTC regroupent des données patient recueillies entre la date de lancement du 26 janvier 2018 et le 31 décembre 2022. Ces données proviennent de 115 CTH participants (annexe 2), qui représentent 43 pays ayant reçu l'approbation des comités d'éthique et ayant inscrit au moins une personne atteinte d'hémophilie au sein du RMTC au 31 décembre 2022.

Veuillez noter qu'à la date limite de soumission des données pour le présent rapport a été atteinte (soit le 31 décembre 2022), il est possible que toutes les personnes atteintes d'hémophilie éligibles des CTH participants n'aient pas encore été inscrites au RMTC. Par conséquent, les données figurant dans le présent rapport peuvent ne pas être représentatives de la totalité de la population de patients de chaque CTH, ce qui limite les possibilités de généralisation. À mesure que la proportion de personnes atteintes d'hémophilie inscrites au RMTC des CTH participants s'accroît, les données refléteront de plus en plus fidèlement la population de patients de chaque CTH.

Les données 2022 du RMTC sont rapportées grâce à l'utilisation de la distribution des fréquences et de pourcentages pour les données catégorielles, et de médianes accompagnées des quartiles 1 et 3, notés (Q1 – Q3), et/ou de marges pour les variables continues.

COMITÉ DIRECTEUR DU RMTC DE LA FMH

La FMH tient à remercier le Comité directeur actuel du RMTC pour son dévouement au développement et à la mise en œuvre du Registre :

- Dr Alfonso Iorio, coprésident
- Dr Emna Gouider, coprésidente
- Dr Barbara Konkle
- Dr Saliou Diop
- Dr Cédric Hermans
- Declan Noone
- Jamie O'Hara
- Dr Glenn Pierce, vice-président Médical de la FMH
- César Garrido, Président de la FMH

REPRÉSENTATION MONDIALE AU SEIN DU RMTC, 2022

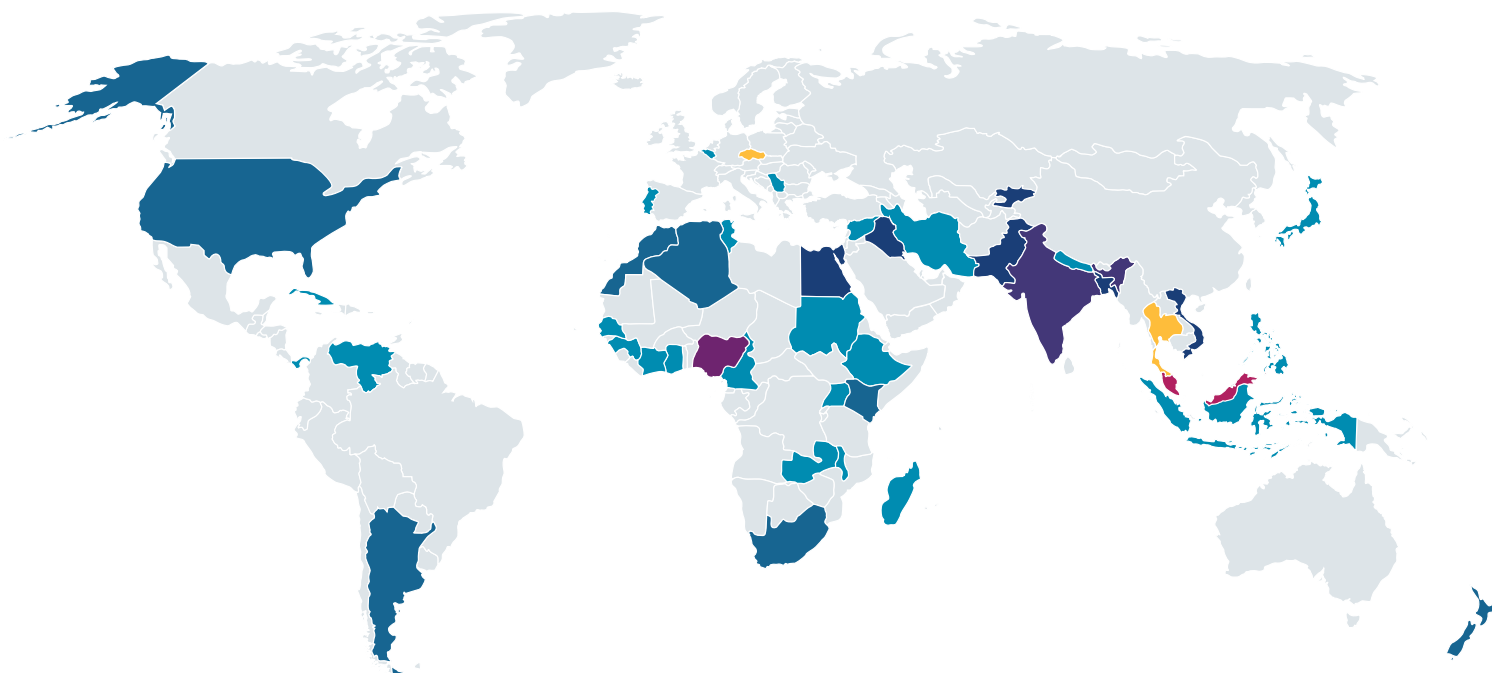


Figure 1

PAYS ET CTH PARTICIPANT
AU RMTC

Nombre de CTH par pays



● Intégration des données

Pour une liste complète des CTH,
voir annexe 2

Afrique du Sud.....	2	Malawi.....	1
Argentine.....	2	Maroc.....	2
Bangladesh.....	5	Népal.....	1
Barbade (La).....	1	Nigéria.....	7
Belgique.....	1	Nouvelle-Zélande.....	2
Cameroun.....	1	Ouganda.....	1
Côte d'Ivoire.....	1	Pakistan.....	3
Cuba.....	1	Panama.....	1
Égypte.....	4	Philippines.....	1
États-Unis.....	2	Portugal.....	1
Éthiopie.....	1	Sénégal.....	1
Ghana.....	1	Serbie.....	1
Guinée.....	1	Soudan.....	1
Inde.....	6	Syrie.....	1
Indonésie.....	1	Tchéquie.....	17
Iran.....	1	Thaïlande.....	8
Iraq.....	3	Tunisie.....	1
Japon.....	1	Venezuela.....	1
Kenya.....	2	Vietnam.....	3
Kirghizistan.....	4	Zambie.....	1
Madagascar.....	1		
Malaisie.....	15		

DONNÉES FIGURANT DANS LE RAPPORT 2022 DU RMTC

PARTICIPATION

Entre janvier 2018 et le 31 décembre 2022, 11 374 personnes atteintes d'hémophilie ont été inscrites au RMTC, ce qui représentent 6 régions, 43 pays et 115 CTH (figures 1 et 2).



TABLERAU 1

Synthèse de la participation

	Formes mineure et modérée*	Forme sévère*
Pays, n	42	43
Centres de traitement de l'hémophilie**, n	104	109
Personnes atteintes d'hémophilie, n	5 351	5 644
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par région†, n (%)		
Afrique (n=1 305)	388 (30 %)	639 (49 %)
Amériques (n=427)	109 (26 %)	308 (72 %)
Méditerranée orientale (n=3 102)	1 416 (46 %)	1 638 (53 %)
Europe (n=1 188)	679 (57 %)	495 (42 %)
Asie du Sud-Est (n=3 448)	2 039 (59 %)	1 385 (40 %)
Pacifique occidental (n=1 904)	720 (38 %)	1 179 (62 %)
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par RNB§, n (%)		
Revenu élevé (n= 1 309)	693 (53 %)	606 (46 %)
Revenu intermédiaire de la tranche supérieure (n=1 945)	650 (33 %)	1 286 (66 %)
Revenu intermédiaire de la tranche inférieure (n= 7 575)	3 733 (49 %)	3 557 (47 %)
Revenu faible (n=545)	275 (50 %)	195 (36 %)

* Les personnes atteintes d'hémophilie ayant une forme sévère sont celles présentant un taux de facteur < 1 %. 379 personnes atteintes d'hémophilie au degré de sévérité inconnu ont été exclues ce qui explique que les totaux ne correspondent pas à 100 %.

** Les CTH inclus sont ceux ayant reçu l'approbation d'un Comité d'éthique et qui ont enregistré au moins une personne atteinte d'hémophilie dans le RMTC au 31 décembre 2022.

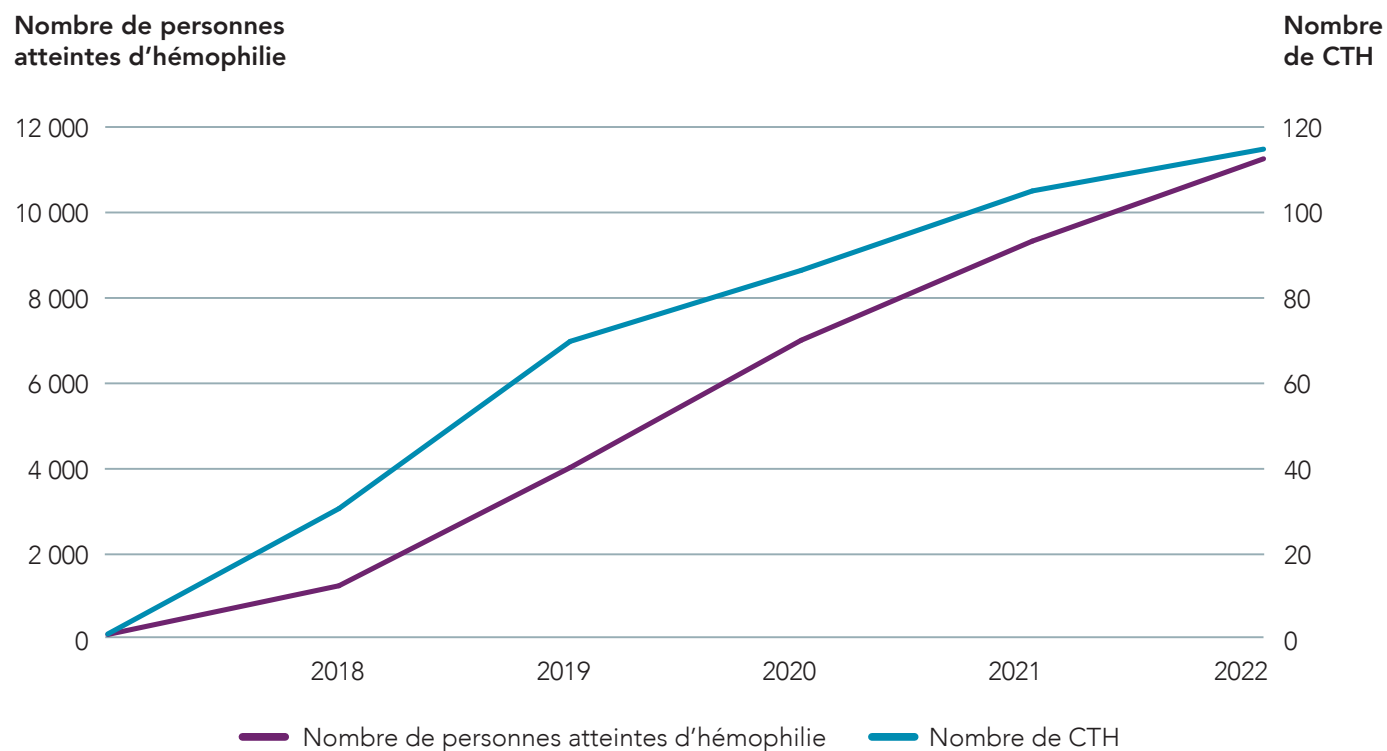
† Régions basées sur les groupements régionaux de l'OMS².

§ RNB = Revenu national brut; catégories du RNB basées sur celles de la classification 2022 du groupe de la Banque mondiale intitulée « Revenu national brut (RNB) par habitant, méthode Atlas (dollars US courants) »³.

Figure 2

Inscription au RMTC des CTH et des personnes atteintes d'hémophilie

Janvier 2018 – Décembre 2022

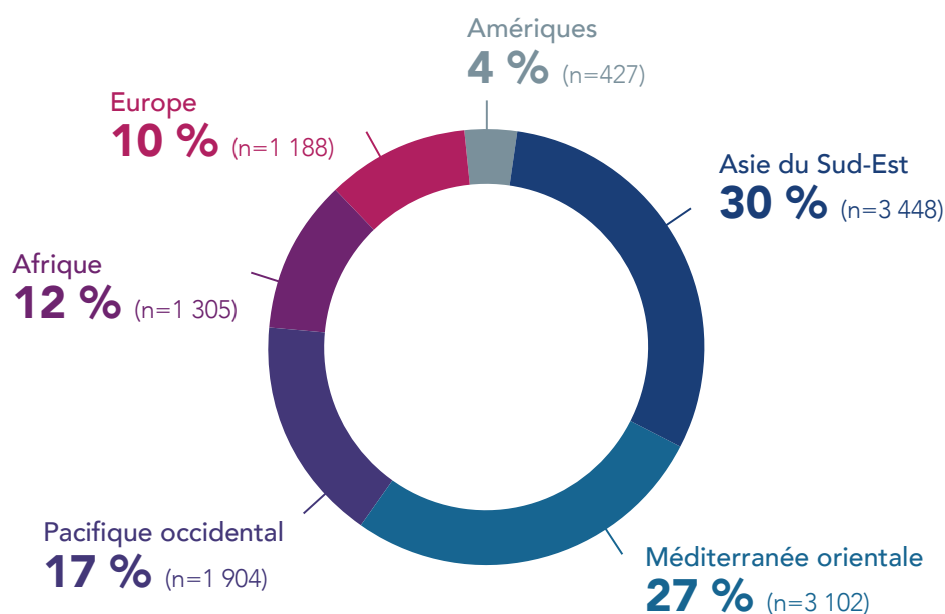


RÉPARTITION DES PERSONNES ATTEINTES D'HÉMOPHILIE

La classification régionale utilisée dans le RMTc est basée sur celle de l'OMS¹. La majorité des personnes atteintes d'hémophilie se situe en Asie du Sud-Est (Bangladesh, Inde, Indonésie, Népal et Thaïlande) et en Méditerranée orientale (Algérie, Égypte, Iran, Iraq, Maroc, Pakistan, Soudan, Syrie et Tunisie), ce qui représente 30 % et 27 % des personnes atteintes d'hémophilie respectivement (figure 3).

Figure 3

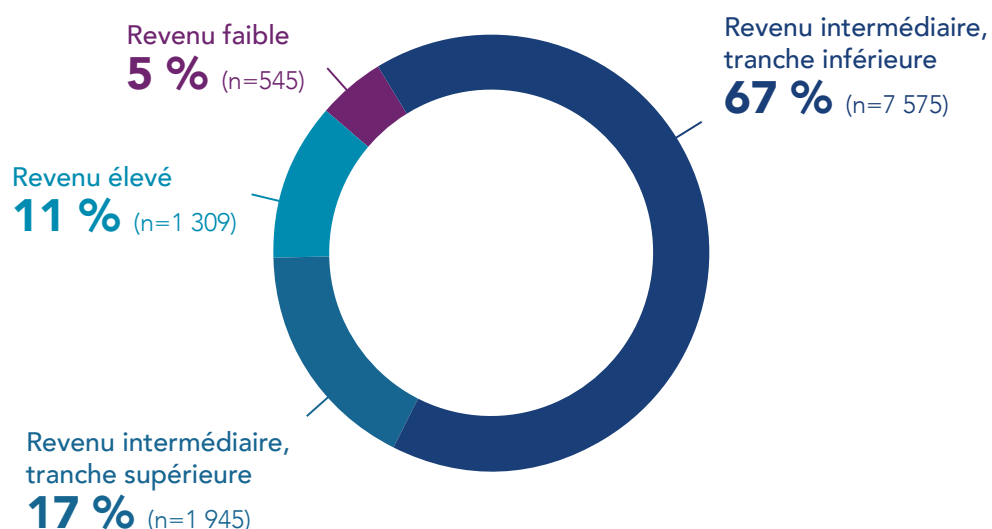
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par région



La répartition des participants par revenu national brut (RNB) par habitant² montre que la majorité des personnes atteintes d'hémophilie sont issues de pays à revenu intermédiaire de la tranche inférieure (66 %), suivis par les pays à revenu intermédiaire de la tranche supérieure (17 %) et à revenu élevé (11 %), puis par les pays à revenu faible (5 %) (figure 4).

Figure 4

Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par revenu national brut



DONNÉES DÉMOGRAPHIQUES

TABLEAU 2

Synthèse des données démographiques

	Formes mineure et modérée*	Forme sévère*
Type d'hémophilie**, n (%)		
Hémophilie A (n= 9 599)	4 415 (46 %)	4 903 (51 %)
Hémophilie B (n=1 717)	924 (54 %)	736 (43 %)
Sexe, n (%)		
Hommes	5 282 (99 %)	5 617 (99 %)
Femmes	67 (<1 %)	27 (<1 %)
Âge des personnes atteintes d'hémophilie§		
Âge médian (IQR) (en années)	22 (12-33)	20 (11-33)
Enfants (<18 ans), (n=4 927)	2 224 (45 %)	2 488 (50 %)
Adultes (+de 18 ans), (n=6 447)	3 127 (49 %)	3 156 (49 %)

IQR = écart interquartile

* 379 personnes atteintes d'une hémophilie de type inconnu ont été exclues.

** 58 personnes atteintes d'hémophilie présentaient une hémophilie de type inconnu et ont été exclues.

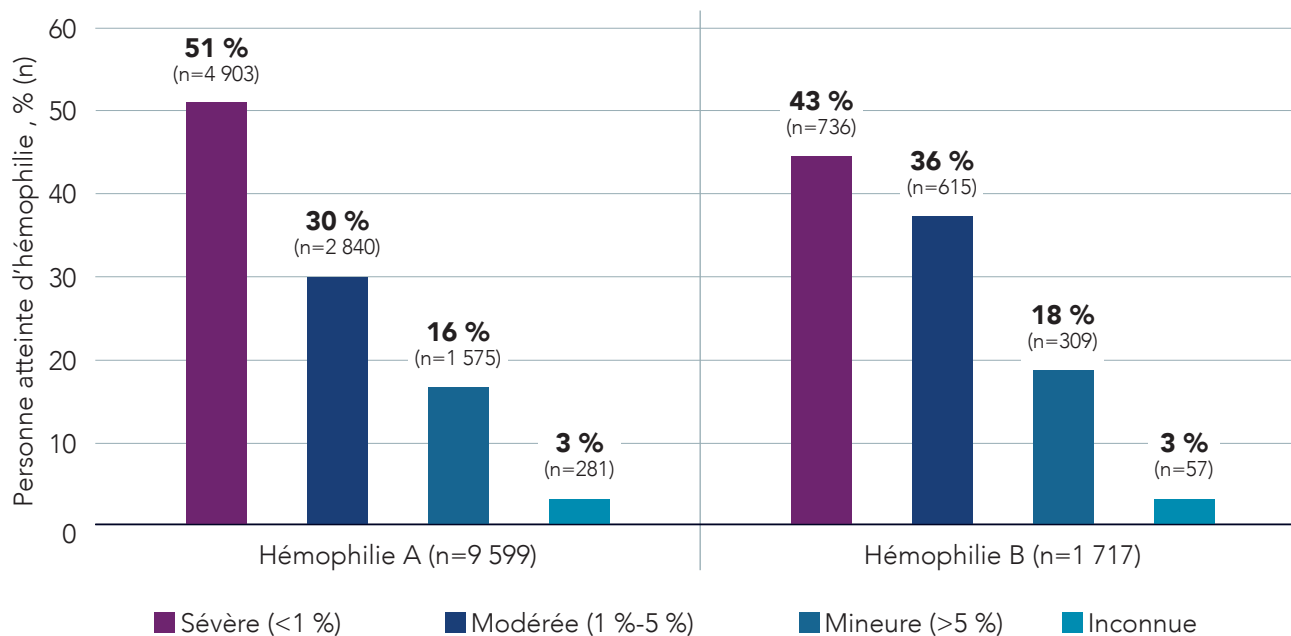
§ Âge des personnes atteintes d'hémophilie au 31 décembre 2022.

TYPE ET SÉVÉRITÉ DE L'HÉMOPHILIE

Au total, 99 % (n=11 260) des participants étaient des hommes, 84 % (n=9 599) étaient atteints d'hémophilie A et 15 % (n=1 717) d'hémophilie B (tableau 2). La catégorie de sévérité la plus fréquente est « sévère », aussi bien pour l'hémophilie A que B, avec respectivement 51 % et 43 % (figure 5).

Figure 5

Type* et sévérité de l'hémophilie, % (n)



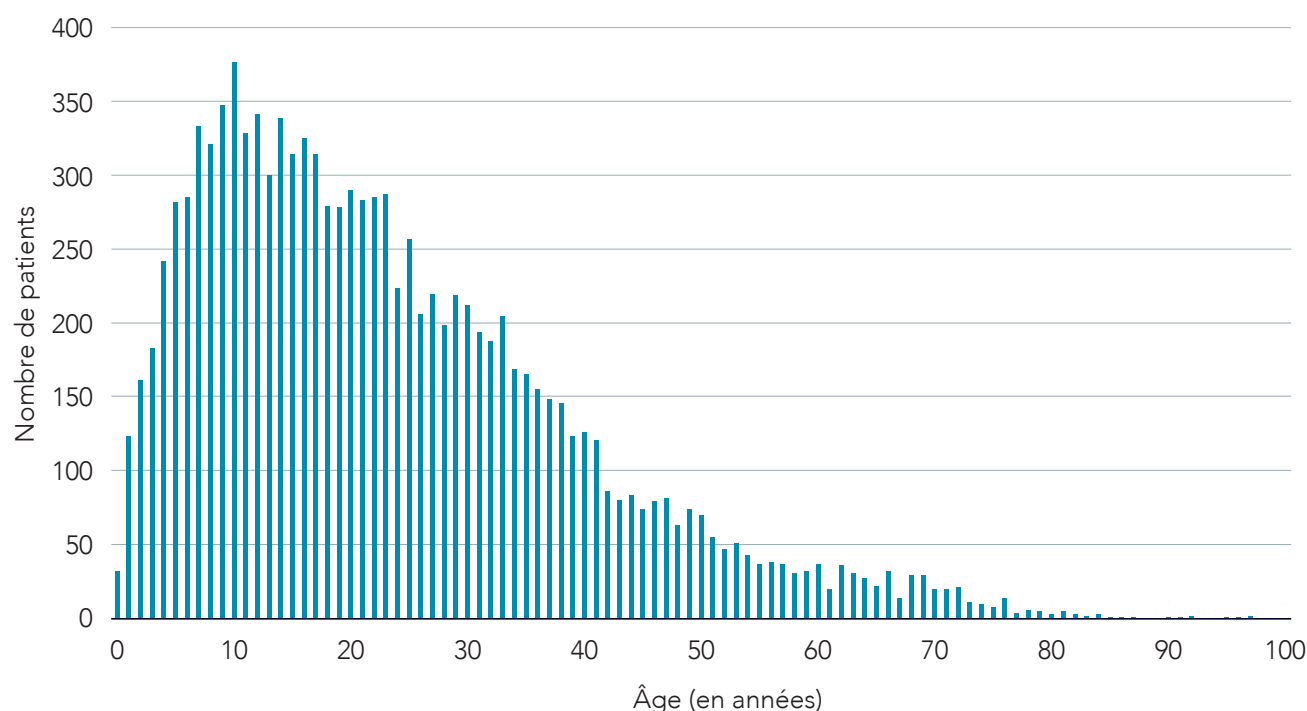
* 58 personnes atteintes d'hémophilie présentaient une hémophilie de type inconnu et ont été exclues.

ÂGE DES PERSONNES ATTEINTES D'HÉMOPHILIE INSCRITES AU RMTC

L'âge médian des participants est de 20 ans et va de 1 mois à 97 ans (figure 6). Les adultes (≥ 18 ans) constituent 57 % ($n=6\,447$) et les enfants (<18 ans) constituent 43 % ($n=4\,927$) de la totalité des participants.

Figure 6

Répartition par âge des personnes atteintes d'hémophilie au sein du RMTC



RATIO ENFANTS ADULTES

43 % : **57 %**

ENFANTS

ADULTES



DIAGNOSTIC ET ANTÉCÉDENTS CLINIQUES

TABEAU 3a

Synthèse des diagnostics et antécédents cliniques

	Formes mineure et modérée (n=5 351)	Forme sévère (n=5 644)
Âge médian (IQR) au moment du diagnostic, en mois	64 (16-172)	20 (7-89)
Âge au moment du diagnostic par tranche d'âge, n (%)		
0–11 mois	1 014 (19 %)	2 111 (37 %)
1–4 ans	1 540 (29 %)	1 692 (30 %)
5–17 ans	1 677 (31 %)	1 161 (21 %)
18–44 ans	858 (16 %)	564 (10 %)
45 ans et plus	185 (3 %)	50 (1 %)
Âge inconnu	77 (1 %)	66 (1 %)

TABEAU 3b

Personnes nouvellement diagnostiquées en 2022, n (%)	216 (4 %)	210 (4 %)
Âge médian (IQR) au premier saignement*, en mois	18 (7-60)	9 (6-18)
Âge médian (IQR) au premier saignement articulaire*, en mois	36 (12-84)	24 (11-48)

* Sur la base de 9 296 personnes atteintes d'hémophilie ayant soumis des données sur leur premier saignement.

** Sur la base de 7 512 personnes atteintes d'hémophilie ayant soumis des données sur leur premier saignement articulaire.

ÂGE AU MOMENT DU DIAGNOSTIC

L'âge médian (IQR) au moment du diagnostic était de 37 mois (10-130) pour toutes les personnes atteintes d'hémophilie et de 20 mois (7-89) pour les personnes présentant une forme sévère (tableau 3a). Pour les personnes présentant une forme mineure ou modérée, l'âge médian au moment du diagnostic par région allait de 10 mois pour les Amériques à 84 mois pour le Pacifique occidental (figure 7). Pour les personnes présentant une forme sévère, l'âge le plus élevé au moment du diagnostic était en Afrique avec 48 mois et le plus faible à nouveau pour les Amériques avec 8 mois (figure 7). L'âge au diagnostic des personnes présentant une forme mineure ou modérée diminue à mesure que le RNB augmente : il passe de 63 mois dans les pays à revenu faible à 58 mois dans les pays à revenu élevé. On observe une tendance similaire chez les personnes présentant une forme sévère avec 48 mois et 10 mois (figure 8).

En 2022, 467 personnes ont été diagnostiquées avec une hémophilie, dont 210 présentaient une forme sévère.

Dix-neuf pour cent pour les personnes présentant une forme mineure ou modérée et 37 % pour les personnes présentant une forme sévère ont été diagnostiquées avant 12 mois. Quarante-huit pour cent de l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie et 67 % des personnes présentant une forme sévère ont été diagnostiquées avant l'âge de 5 ans (tableau 3a, figure 9).



Figure 7

Âge au moment du diagnostic par région

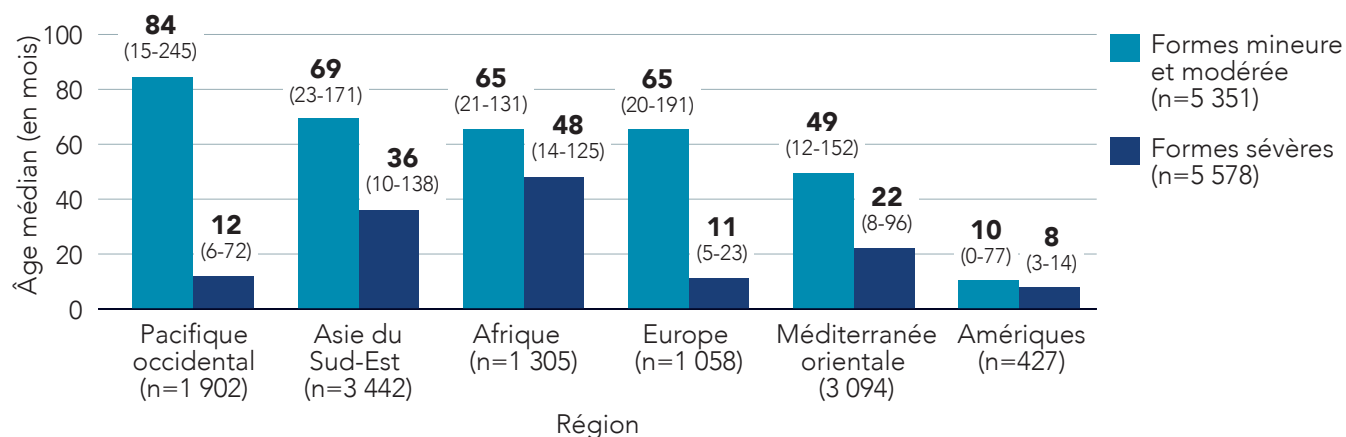


Figure 8

Âge au moment du diagnostic par revenu national brut

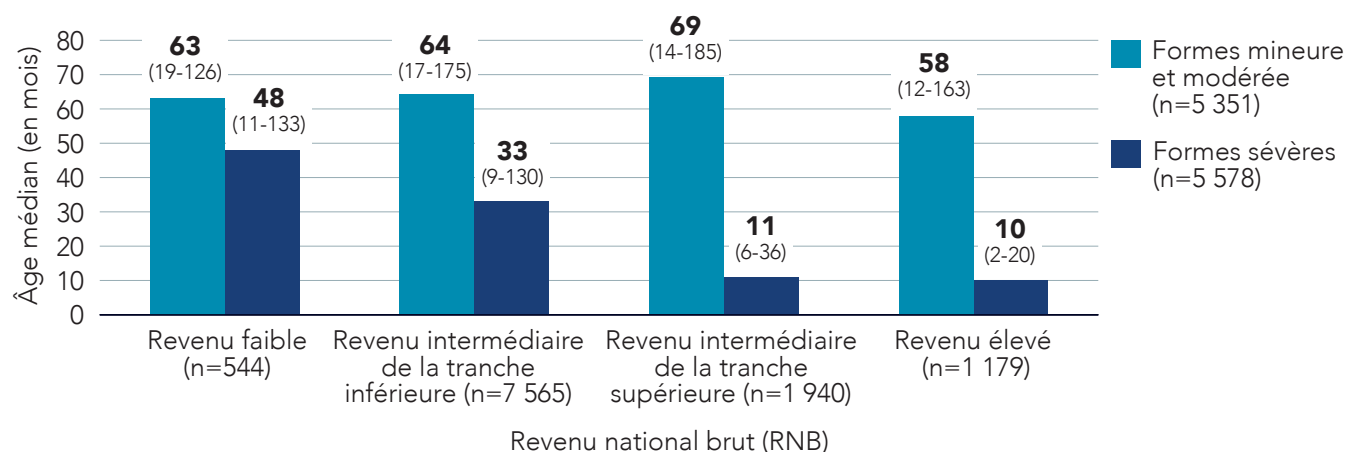
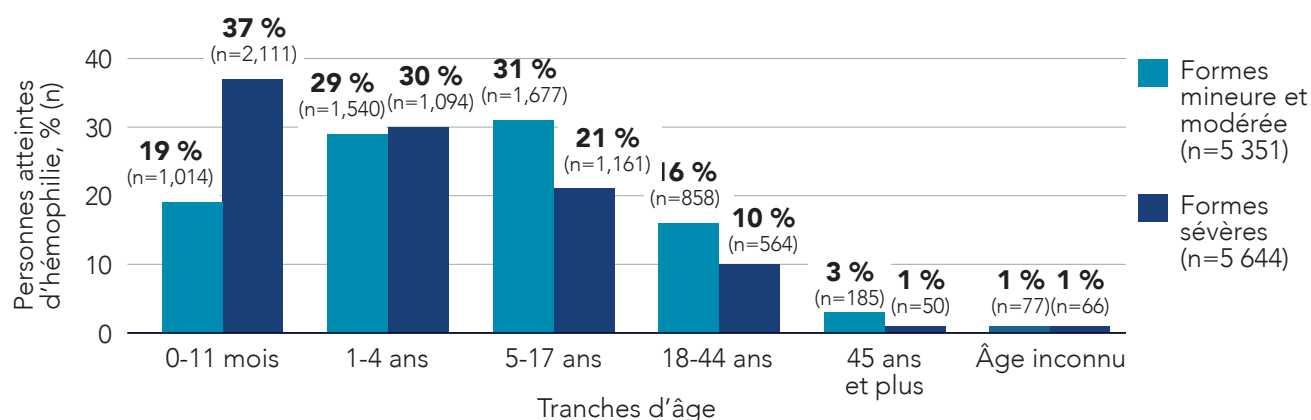


Figure 9

Répartition par âge des personnes atteintes d'hémophilie au moment du diagnostic, % (n)*



*Voir tableau 3a pour le nombre de personnes atteintes d'hémophilie par sévérité.

ÂGE AU PREMIER SAIGNEMENT ET AU PREMIER SAIGNEMENT ARTICULAIRE

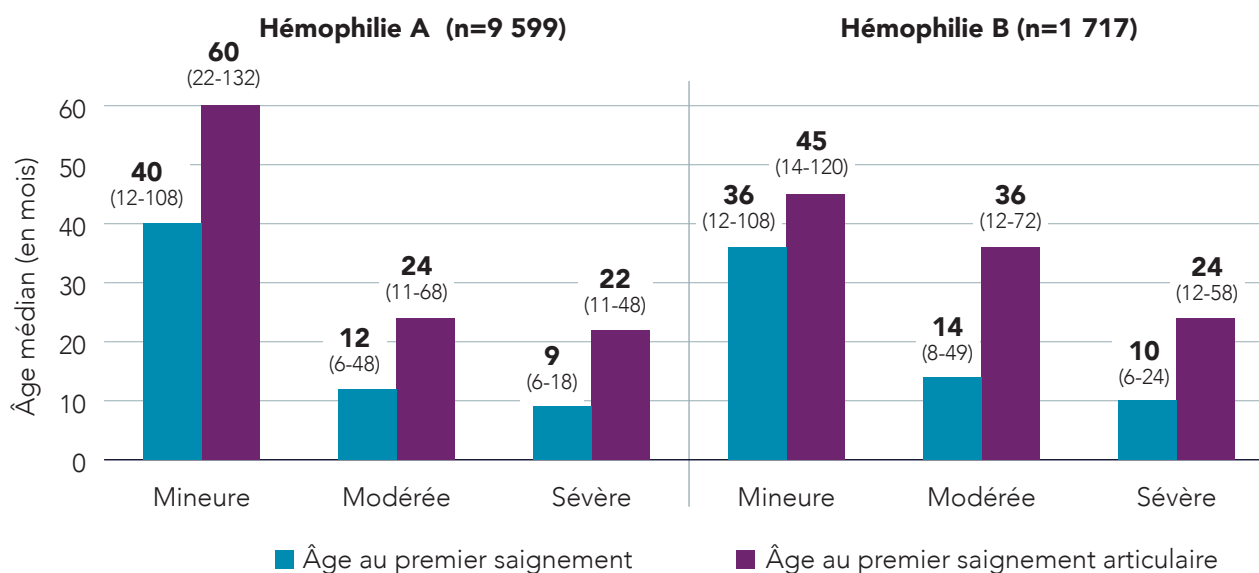
L'âge médian au premier saignement et au premier saignement articulaire est respectivement de 12 et 14 mois pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie (tableau 3b, figure 10).

Chez les personnes atteintes d'hémophilie A sévère, l'âge médian au premier saignement est de 9 mois et de 22 mois au premier saignement articulaire (figure 10).

Chez les personnes atteintes d'hémophilie B sévère, l'âge médian au premier saignement est de 10 mois et de 24 mois au premier saignement articulaire (figure 10).

Figure 10

Âge médian (IQR) au premier saignement et au premier saignement articulaire par sévérité, hémophilie A et B, en mois



EMPLOI

Sur les 4 245 adultes (≥ 18 ans) atteintes d'hémophilie ayant renseigné leur situation d'emploi, 40 % étaient employés à temps plein ou partiel. L'hémophilie affectait l'emploi de 18 % des personnes atteintes d'hémophilie, les contraignant à des emplois à temps partiel, à des congés longue maladie, à être sans emploi ou à avoir pris leur retraite (tableau 6).

TABLEAU 6

Emploi

	Formes mineure et modérée* (n=1 991)	Forme sévère* (n=2 149)
Situation d'emploi rapportée		
Employé à temps plein ou partiel	826 (41 %)	827 (38 %)
Employé à temps partiel en raison de l'hémophilie	166 (8 %)	201 (9 %)
En congé longue maladie en raison de l'hémophilie	18 (1 %)	21 (1 %)
Sans emploi en raison de l'hémophilie	112 (6 %)	194 (9 %)
À la retraite en raison de l'hémophilie	22 (1 %)	21 (1 %)
Étudiant	614 (31 %)	615 (29 %)
Autre	233 (12 %)	270 (13 %)

* 105 personnes atteintes d'une hémophilie d'une sévérité inconnue ont été exclues.



20 % DES ADULTES PRÉSENTANT UNE FORME SÉVÈRE D'HÉMOFILIE RAPPORTENT QUE LEUR SITUATION D'EMPLOI EST NÉGATIVEMENT AFFECTÉE PAR L'HÉMOFILIE

DONNÉES CLINIQUES

LES DONNÉES CLINIQUES SONT LES ÉVÉNEMENTS CLINIQUES SURVENUS EN 2022.

TABEAU 7

Synthèse des saignements, 2022

	Formes mineure et modérée* (n=4 802)	Forme sévère* (n=5 326)
Moyenne des saignements par patient (ET)	4,8 (7,0)	6,7 (9,4)
Patients n'ayant aucun saignement en 2022, n (%)	351 (7 %)	519 (10 %)
Articulations cibles**, n (%)		
≥1	528 (11 %)	902 (17 %)
Total des saignements[§], n	8 207	16 282
Localisation du saignement, n (%)		
Articulation	5 802 (71 %)	12 233 (75 %)
Muscle	1 293 (22 %)	2 523 (15 %)
Système nerveux central	37 (<1 %)	41 (<1 %)
Autre localisation	1 017 (12 %)	1 678 (10 %)

* 376 personnes atteintes d'une hémophilie de type inconnu ont été exclues. Les données 2022 de 871 personnes atteintes d'hémophilie de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

** Y compris les personnes atteintes d'hémophilie ayant rapporté au moins un saignement articulaire en 2022 ; par articulation cible, on entend « articulation présentant trois saignements ou plus au cours d'une période de 6 mois consécutifs. Si le nombre de saignements est inférieur ou égal à 2 pendant 12 mois consécutifs, l'articulation en question n'est plus considérée comme une articulation cible »⁴.

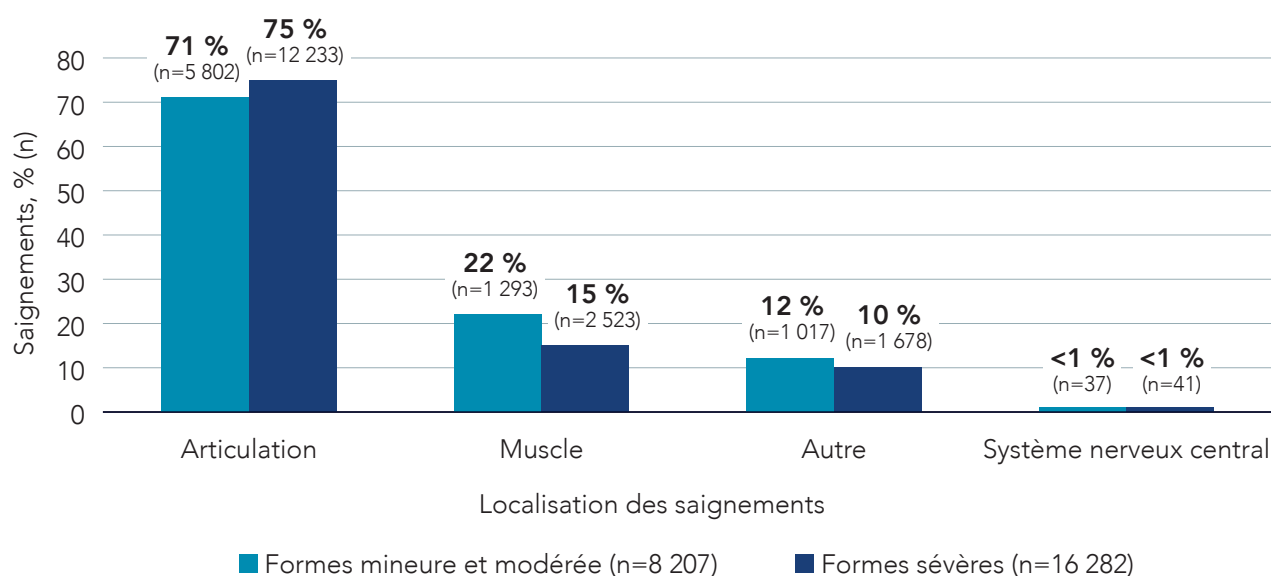
[§] Il est possible que les personnes atteintes d'hémophilie aient présenté des saignements en plusieurs endroits.

SAIGNEMENTS

En 2022, les personnes atteintes d'hémophilie ont rapporté un total de 24 976 saignements, dont 18 382 (74 %) saignements articulaires, 3 889 (16 %) saignements musculaires et 78 (<1 %) saignements au niveau du système nerveux central. Un total de 2 754 (11 %) saignements ont été renseignés dans la rubrique « Autre localisation » (figure 11). Au total, 16 282 saignements ont été rapportés chez les personnes présentant une forme sévère d'hémophilie. La répartition des saignements par localisation chez les personnes atteintes d'hémophilie sévère était similaire à celle de l'ensemble des personnes présentant une forme modérée ou mineure (figure 11).

Figure 11

Localisation des saignements, % (n)



TAUX DE SAIGNEMENTS ANNUALISÉ ET TAUX DE SAIGNEMENTS ARTICULAIRES ANNUALISÉ

Le taux de saignements annualisé et le taux de saignements articulaires annualisé ont été calculés en annualisant respectivement le nombre de saignements et des saignements articulaires. Les deux taux ont été calculés sur la base du nombre total de saignements rapportés au cours des consultations médicales en 2022, divisé par la période d'observation en jours ; le résultat a été annualisé séparément pour chacun des deux taux. Le calcul utilisé est le suivant : (nombres de saignements/durée de la période d'observation en jours) x 365,25. Si l'intervalle entre la première consultation de l'année considérée et la consultation précédente est supérieur à 18 mois, le saignement déclaré dans cet intervalle est exclu de l'analyse. Seules des périodes d'observation supérieures à 30 jours ont été prises en compte. Si le patient n'a eu aucune consultation en 2022 ou si la période d'observation était inférieure à 30 jours, les deux taux n'ont pas été calculés. Les calculs de ces taux ne comprennent que les personnes atteintes d'hémophilie ayant eu respectivement au moins un saignement ou un saignement articulaire en 2022. Les patients n'ayant eu aucun saignement en 2022 ont été exclus des figures 14 et 15. On estime que les patients n'ayant présenté aucun saignement sur un an bénéficient du traitement nécessaire à la prévention des saignements. Cela permet une analyse en profondeur des besoins en matière de soins lorsqu'on observe les deux taux par catégorie ou par région.

TAUX DE SAIGNEMENTS ANNUALISÉ

Le taux de saignements annualisé médian (IQR) était de 6 (1-11) pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, avec des variations par RNB et par région (figure 12). La figure 12 montre que les pays à revenu élevé ou revenu intermédiaire de la tranche supérieure présentaient un taux de 0. Une fois ces patients exclus, le taux passe à 7 (3-14) et diminue à mesure que les revenus augmentent (figure 14).

TAUX DE SAIGNEMENTS ARTICULAIRES ANNUALISÉ

Le taux de saignements articulaires annualisé médian (IQR) était de 2 (0-8) pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, avec des variations par RNB et par région (figure 13). Le taux s'élevait à 4 (0-12) pour les pays à revenu faible et à 0 pour ceux à revenu élevé. Une fois ces derniers exclus, le taux passe à 6 (2-12) et passe de 7 (4-16) pour les pays à revenu faible à 2 (2-5) pour ceux à revenu élevé (figure 15).

Figure 12

Taux de saignements annualisé médian pour toutes les personnes atteintes d'hémophilie, par RNB et par région

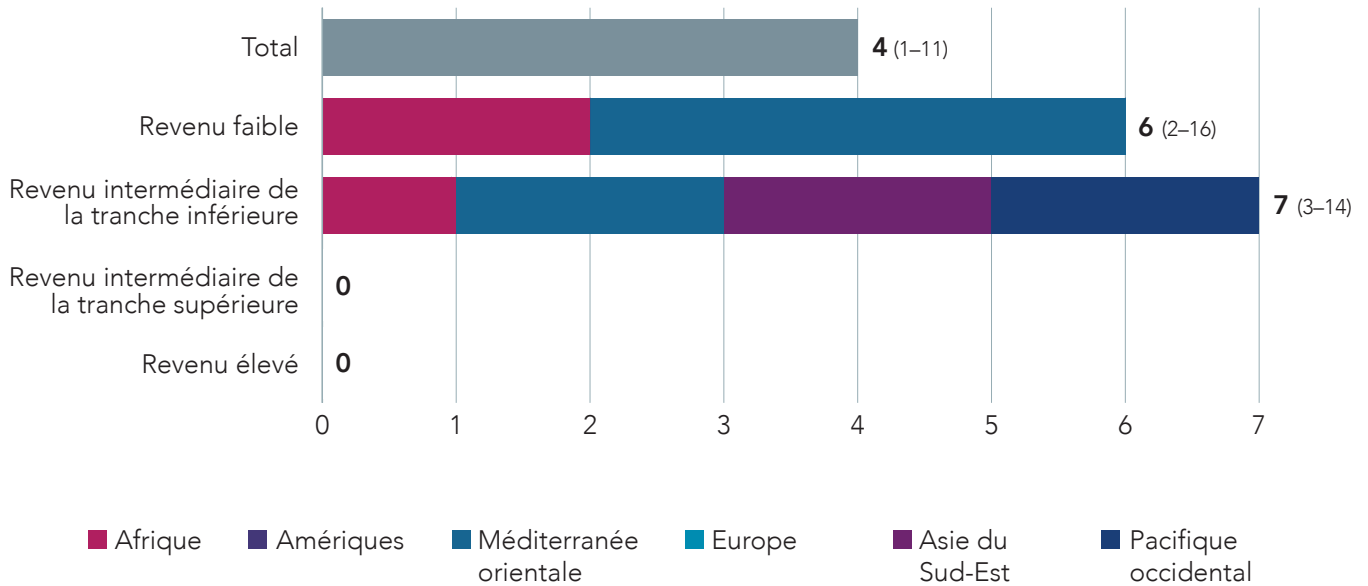


Figure 13

Taux de saignements articulaires annualisé médian pour toutes les personnes atteintes d'hémophilie, par RNB et par région

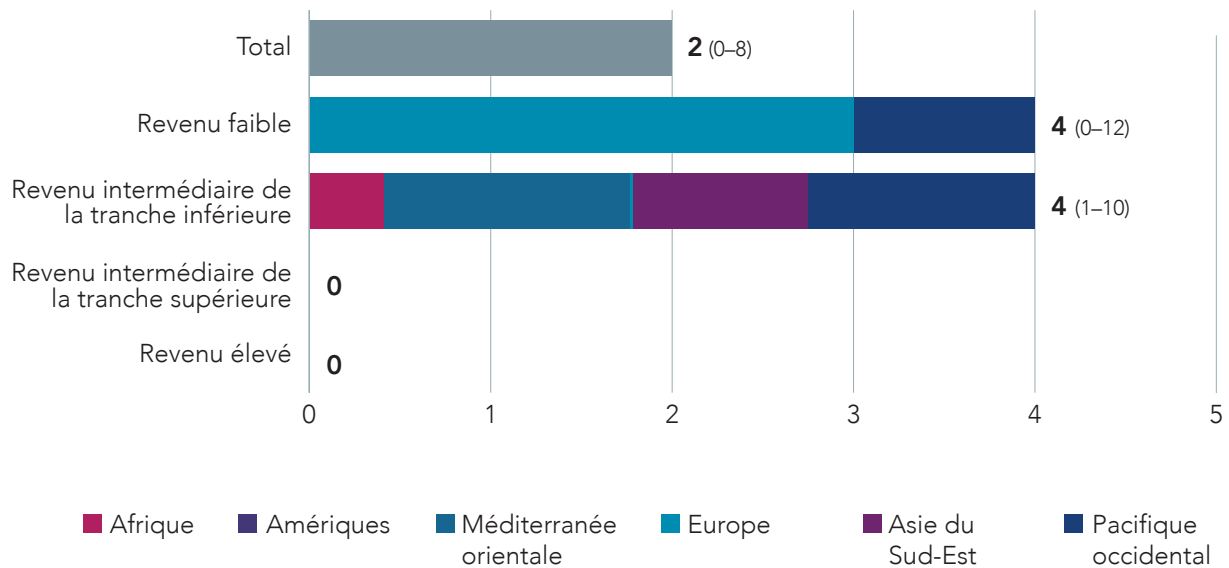


Figure 14

Taux de saignements annualisé médian pour toutes les personnes atteintes d'hémophilie, par RNB et par région (hors patients sans aucun saignement)

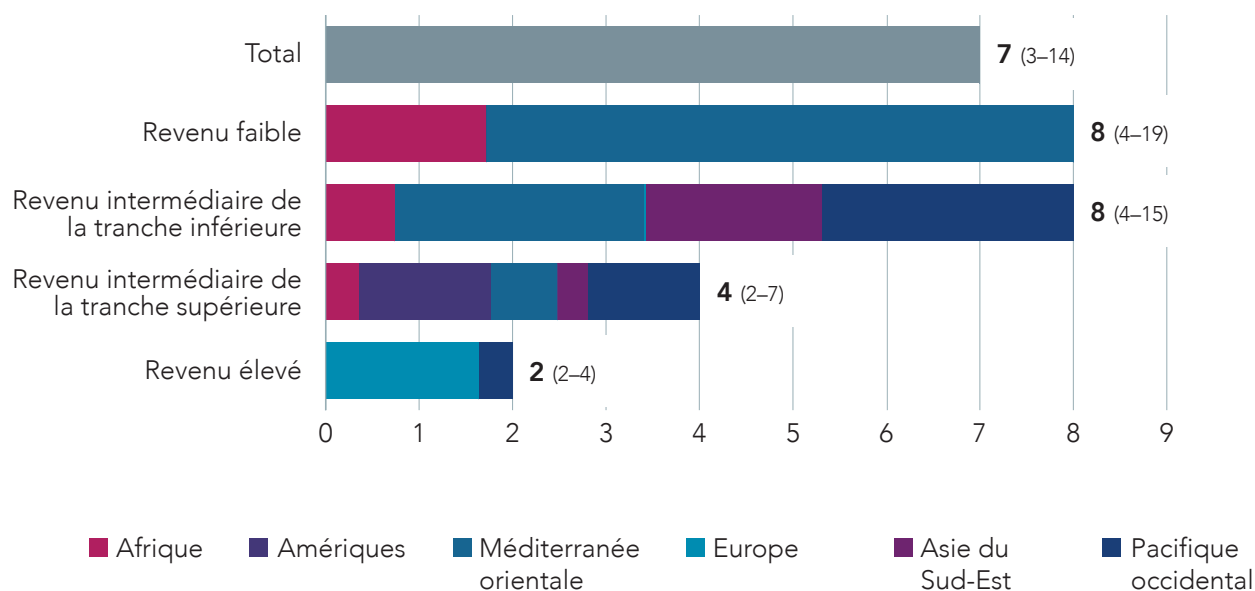
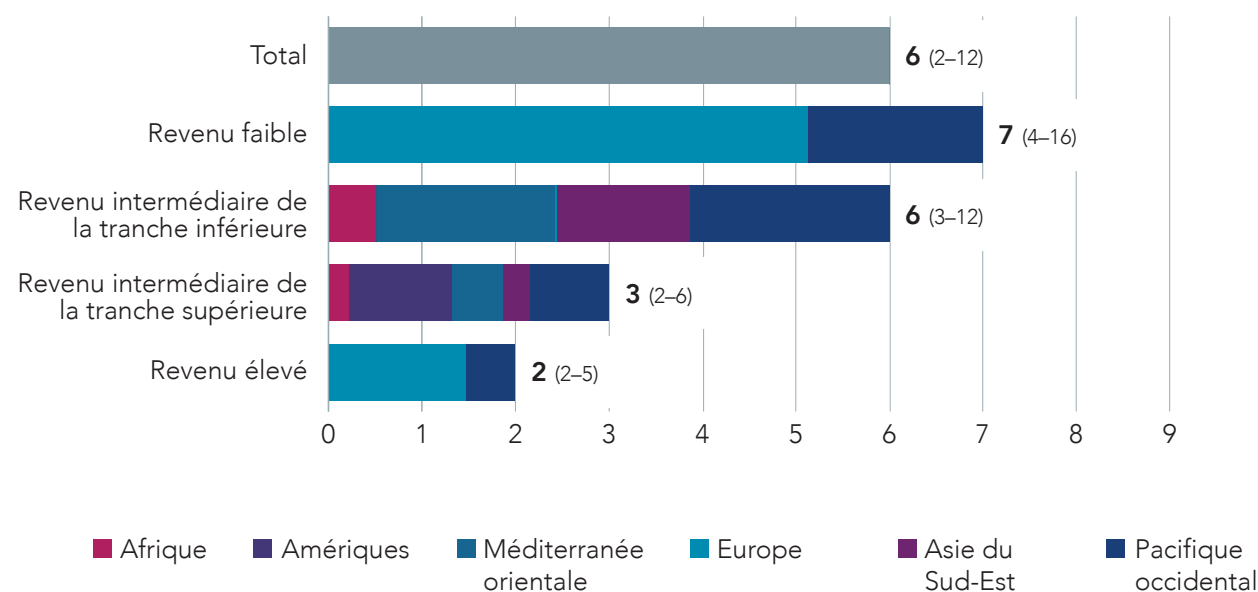


Figure 15

Taux de saignements articulaires annualisé médian pour toutes les personnes atteintes d'hémophilie, par RNB et par région (hors patients sans aucun saignement)

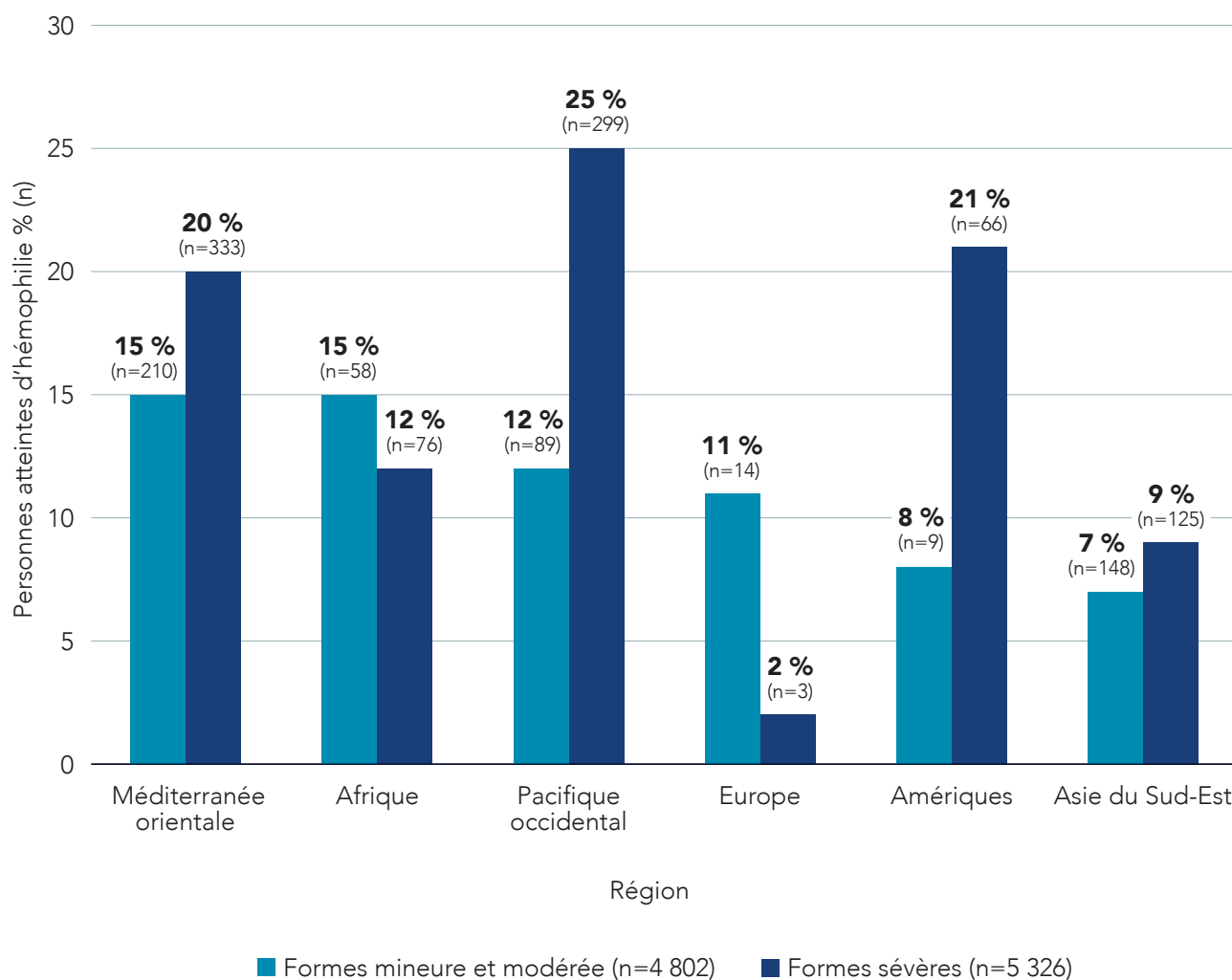


ARTICULATIONS CIBLES

En 2022, 11 % des personnes présentant une forme mineure ou modérée et 17 % des personnes présentant une forme sévère ont déclaré avoir au moins une articulation cible. Le pourcentage de personnes atteintes d'hémophilie rapportant l'existence d'une articulation cible variait par région, allant de 2 à 25 % (figure 16).

Figure 16

Personnes atteintes d'hémophilie présentant au moins une articulation cible, par région



INHIBITEURS

TABEAU 8

Synthèse des inhibiteurs, 2022

	Formes mineure et modérée (n=4 802)*	Forme sévère (n=5 326)*
Patients avec antécédent d'inhibiteur**, n (%)	142 (3 %)	450 (8 %)
Dépistage des inhibiteurs en 2022		
Dépistés†, n (%)	106 (2 %)	363 (7 %)
Résultat positif	15 (14 %)	84 (23 %)
Résultat négatif	91 (86 %)	279 (77 %)
Nouveau diagnostic d'inhibiteur††, n (%)	9 (8 %)	35 (<1 %)
Patients avec suspicion d'inhibiteur, sans possibilité de dépistage‡, n (%)	36 (1 %)	4 (<1 %)

* Les données de 2022 sur 871 personnes atteintes d'hémophilie de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

** Nombre de patients uniques présentant un inhibiteur avant leur enregistrement dans le RMTC ou bien ayant obtenu un test positif avant 2022.

† Nombre de patients uniques ayant été dépisté en 2022. Les méthodes sont les suivantes : Bethesda, Nijmegen-Bethesda et étude de mélange (aPTT).

†† Nombre de patients uniques n'ayant jamais été dépisté, dépistés en 2022 avec un résultat positif.

‡ Comprend toutes les personnes atteintes d'hémophilie ayant effectué une consultation de référence en 2022.

Les données sur les dosages d'inhibiteur sont recueillies au moment de la consultation de référence (qui couvre les 6 derniers mois) et lors de chacune des consultations de suivi. Dans ce rapport, le nombre de personnes atteintes d'hémophilie présentant un résultat positif au dépistage d'inhibiteur est défini comme l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie ayant obtenu au moins un résultat positif en 2022. En 2022, 106 personnes présentant une forme mineure ou modérée et 363 personnes présentant une forme sévère ont été dépistées pour la présence d'inhibiteurs. Le résultat a été positif pour 15 (14 %) et 84 (23 %) d'entre elles, respectivement. Au total, 44 personnes (<1 %) ont été diagnostiquées avec des inhibiteurs (aucun antécédent d'inhibiteurs et aucun signalement d'un résultat positif), dont <1 % présentant une forme sévère (tableau 8 et figure 17).

Figure 17

Dépistage des inhibiteurs chez les personnes atteintes d'une hémophilie sévère, 2022 (n=363)



HOSPITALISATION

TABLEAU 9a

Synthèse des hospitalisations liées à l'hémophilie, 2022

	Formes mineure et modérée (n=4 802)*	Forme sévère (n=5 326)*
Patients hospitalisés**, n (%)	403 (8 %)	604 (11 %)
Total des hospitalisations†, n	1 128	2 849
Nombre médian (IQR) de jours d'hospitalisation	7 (3-15)	15 (7-29)
Nombre médian (IQR) d'hospitalisations par patient§	1 (1-3)	3 (1-6)

TABLEAU 9b

	Formes mineure et modérée (n=4 802)*	Forme sévère (n=5 326)*
Motif de l'hospitalisation, n (%)		
Saignement articulaire	717 (15 %)	2 053 (39 %)
Autre saignement	175 (36 %)	312 (6 %)
Autre saignement musculaire	143 (3 %)	393 (7 %)
Saignement des tissus mous	72 (1 %)	49 (<1 %)
Intervention chirurgicale	36 (<1 %)	52 (<1 %)
Autre	20 (<1 %)	63 (<1 %)
Saignement intracrânien	17 (<1 %)	23 (<1 %)
Saignement musculaire du psoas	15 (<1 %)	27 (<1 %)
Manifestation thrombo-embolique	1 (<1 %)	0 (0 %)

* 376 personnes atteintes d'une hémophilie de type inconnu ont été exclues. Les données de 2022 sur 871 personnes atteintes d'hémophilie de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

** Nombre unique de personnes atteintes d'hémophilie hospitalisées.

§ Uniquement basé sur les patients hospitalisés.

† Par hospitalisation, on entend un séjour comprenant au moins une nuit à l'hôpital.

En 2022, 403 (8 %) personnes présentant une forme mineure ou modérée et 604 (11 %) personnes présentant une forme sévère ont été hospitalisées à 3 977 reprises au total en raison de leur hémophilie, avec un séjour médian (IQR) de 7 et 15 jours, respectivement (tableau 9a). Le motif d'hospitalisation le plus fréquent était le saignement artériel, à la fois pour les personnes atteintes d'hémophilie A et d'hémophilie B (respectivement 70 % et 61 %) (figures 18 et 19). Au total, 27 hospitalisations ont eu lieu pour un saignement intracranien, dont 24 (1 %) chez les personnes atteintes d'hémophilie A et 1 (<1 %) chez les personnes atteintes d'hémophilie B. Les personnes atteintes d'une hémophilie de type inconnu hospitalisées ont été exclues des graphiques ci-dessous (figures 18 et 19).

Figure 18

Motif d'hospitalisation des patients atteints d'hémophilie A (n=3 395)

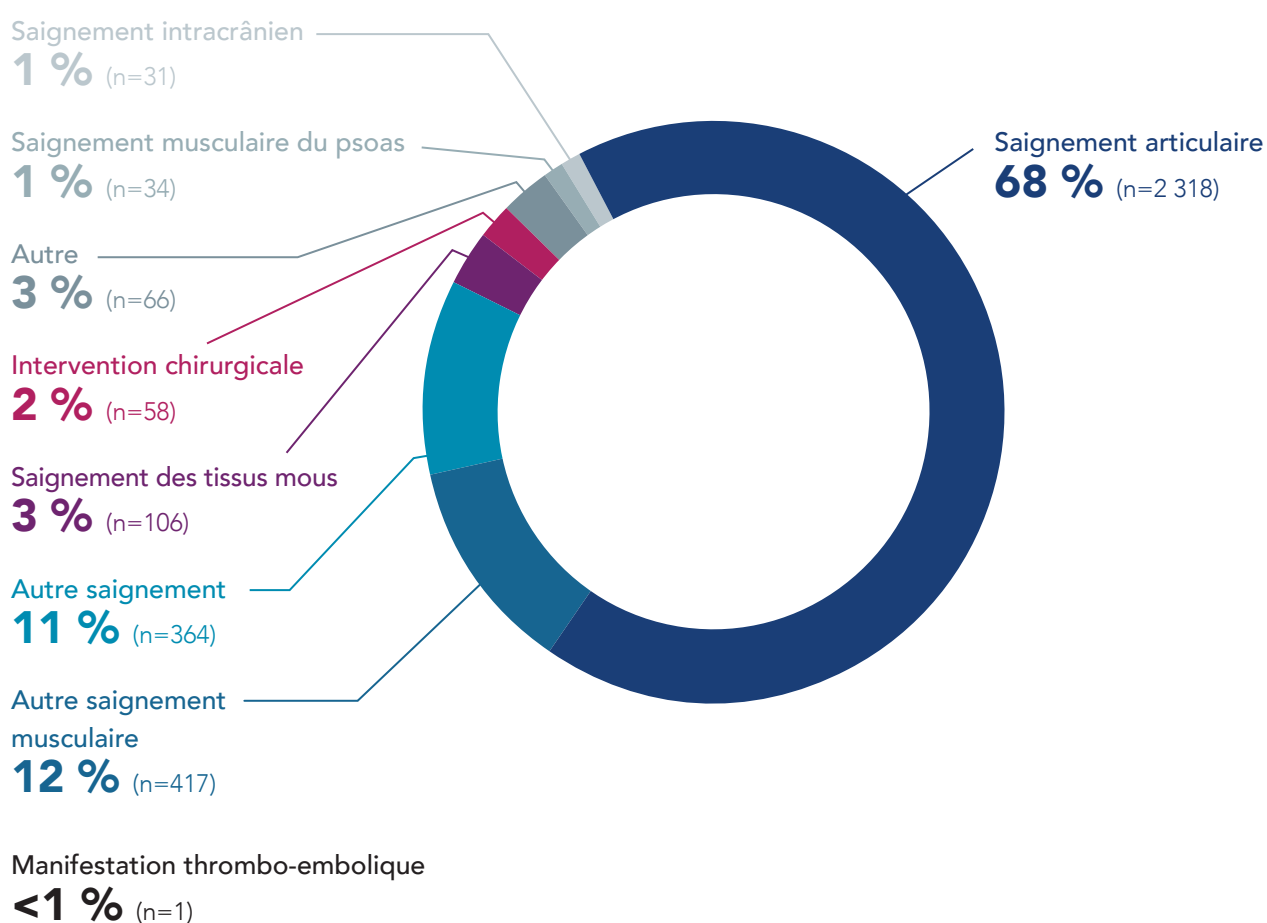
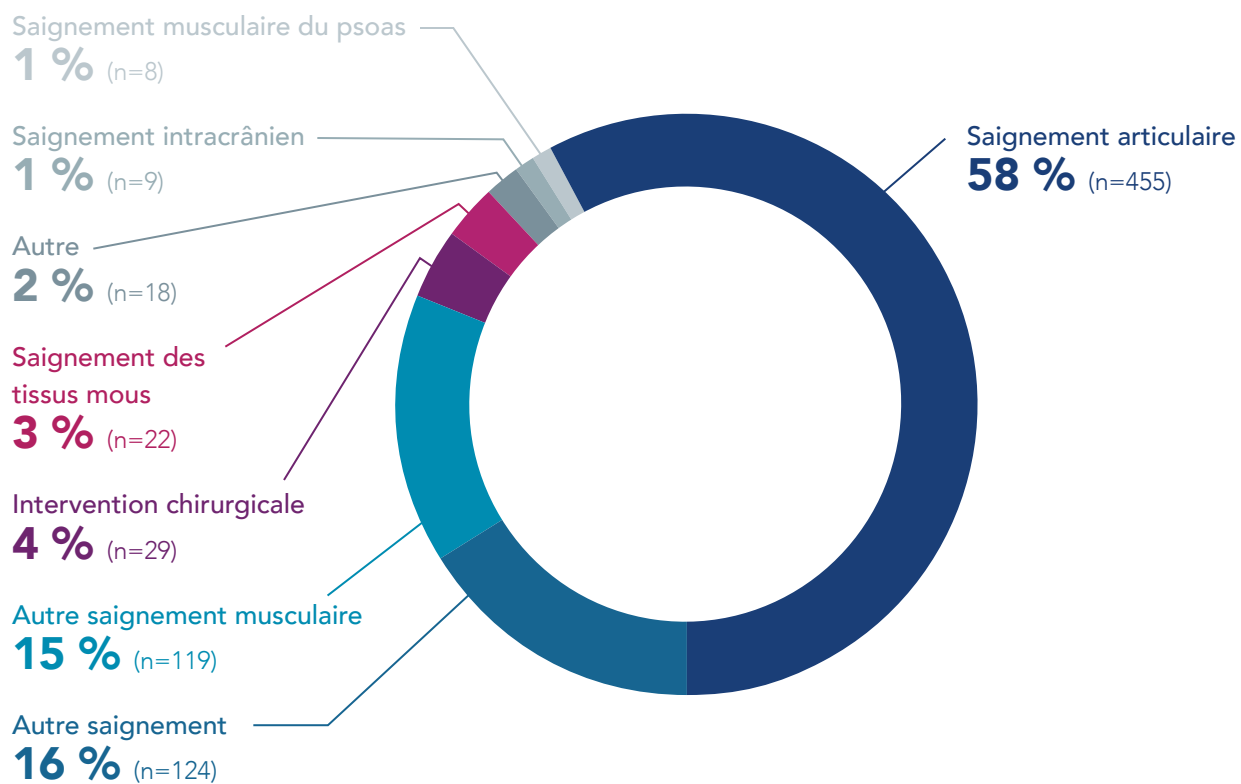


Figure 19

Motif d'hospitalisation des patients atteints d'hémophilie B (n=784)



TRAITEMENT

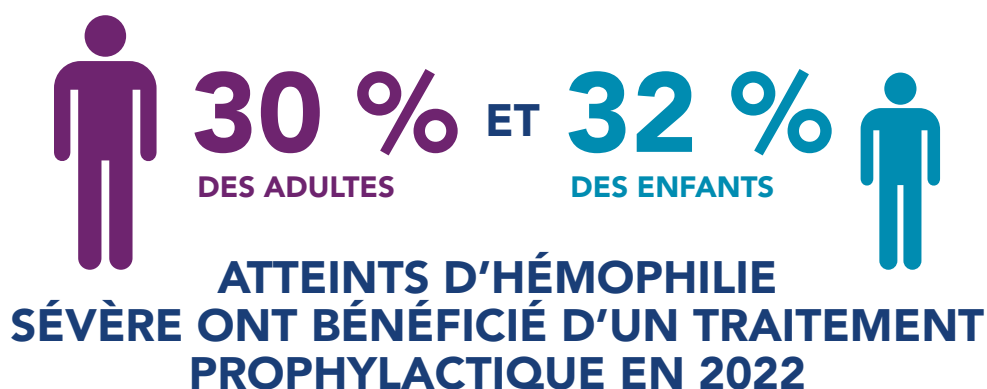
TABEAU 10

Synthèse des traitements, 2022*

	Formes mineure et modérée (n=4 802)*	Forme sévère (n=5 326)*
Ayant reçu au moins 1 traitement prophylactique en 2022, n (%)**	372 (8 %)	1 633 (31 %)
Hémophilie A, n (%)	312 (8 %)	1 472 (32 %)
FVIII, demi-vie standard	180 (58 %)	947 (64 %)
FVIII, demi-vie prolongée	67 (21 %)	258 (16 %)
Agent de contournement	0 (0 %)	6 (<1 %)
Traitement sans facteur de remplacement	100 (32 %)	407 (28 %)
Autre	15 (5 %)	36 (2 %)
Hémophilie B, n (%)	60 (7 %)	161 (23 %)
FIX, demi-vie standard	25 (42 %)	93 (58 %)
FIX, demi-vie prolongée	29 (48 %)	64 (40 %)
Agent de contournement	0 (0 %)	2 (1 %)
Traitement sans facteur de remplacement	0 (0 %)	2 (0 %)
Autre	11 (18 %)	15 (9 %)

* Les données de 2022 sur 871 personnes atteintes d'hémophilie de Tchéquie n'étaient pas disponibles au moment de la publication. Cinq personnes atteintes d'une hémophilie de type inconnu et 376 personnes présentant une sévérité inconnue ont été exclues.

** Nombre de personnes uniques ayant bénéficié d'un traitement prophylactique en 2022. Cela comprend les patients ayant commencé un traitement prophylactique ou étant sous traitement prophylactique en 2022. Certains patients peuvent bénéficier de traitements relevant de plusieurs catégories.



PROPHYLAXIE

Au total, 2 047 (19 %) personnes atteintes d'hémophilie ont bénéficié d'un traitement prophylactique en 2022, dont 30 % présentaient une forme sévère. De ces dernières, 90 % sont atteintes d'hémophilie A et 10 % d'hémophilie B (tableau 10).

Figure 20

Personnes atteintes d'hémophilie ayant bénéficié d'une prophylaxie en 2022, par région*

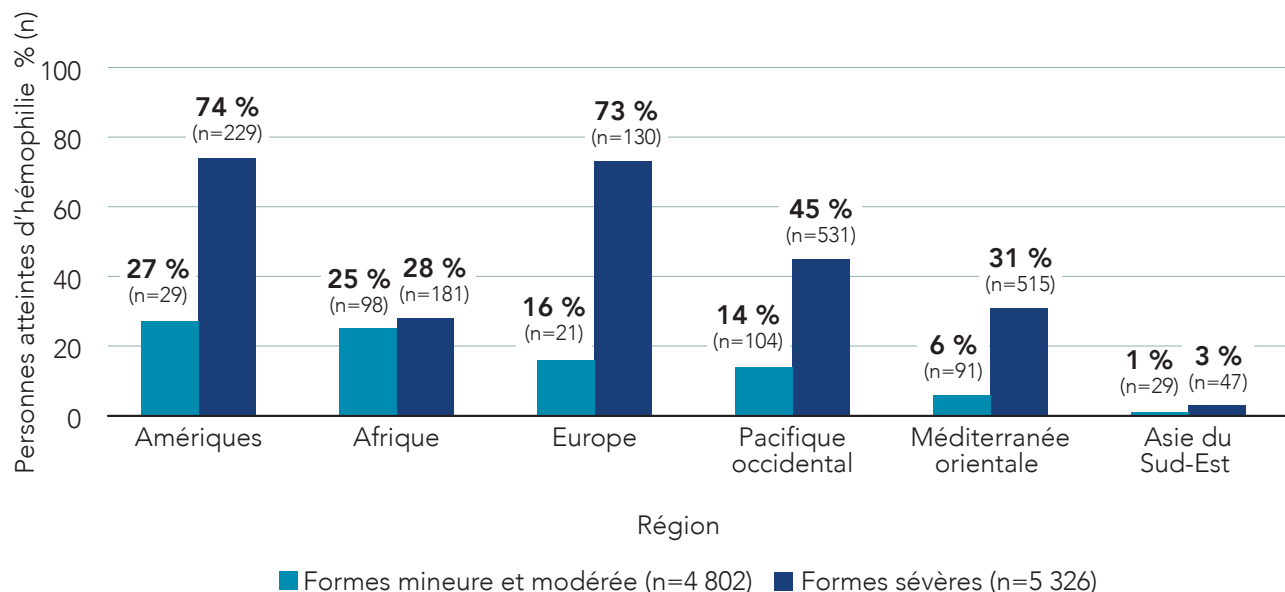
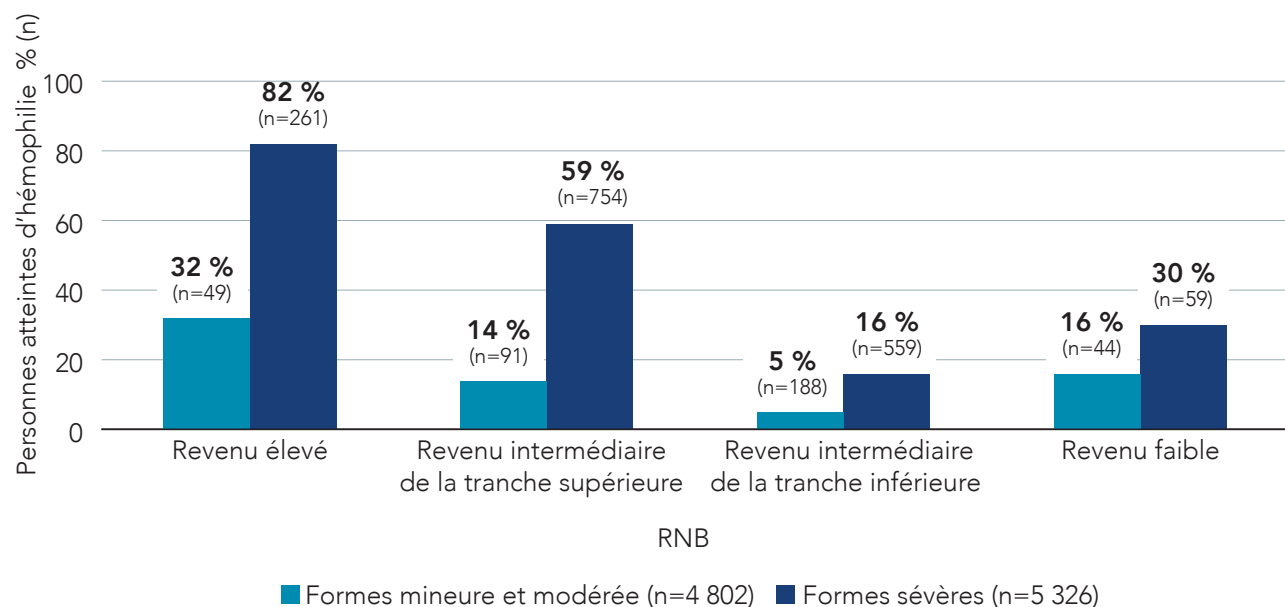


Figure 21

Personnes atteintes d'hémophilie ayant bénéficié d'une prophylaxie en 2022, par RNB*

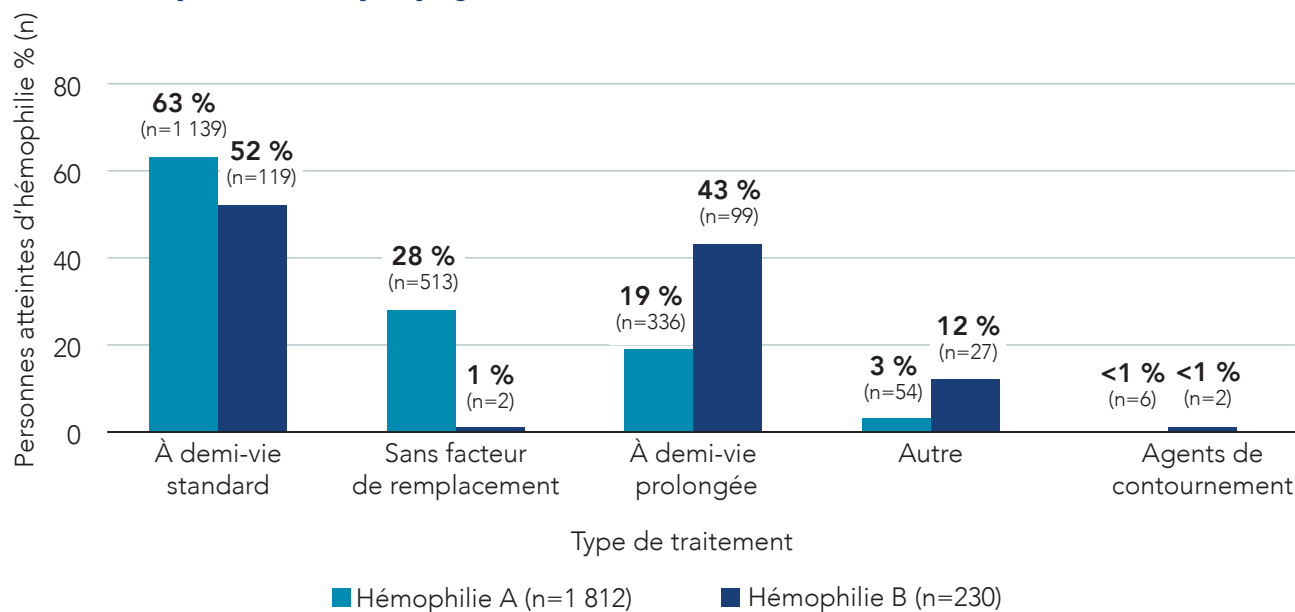


* Voir tableau 1 pour le nombre de personnes atteintes d'hémophilie par sévérité dans chaque région ou pour chaque RNB.

Chez les personnes atteintes d'hémophilie bénéficiant d'une prophylaxie, la catégorie la plus fréquemment utilisée en 2022 était celle des concentrés de facteur de coagulation à demi-vie standard (63 % des personnes atteintes d'une hémophilie A sous prophylaxie et 52 % des personnes atteintes d'une hémophilie B sous prophylaxie). Chez les personnes atteintes d'hémophilie A, 28 % ont bénéficié d'un traitement sans facteur de remplacement (tableau 10, figure 22).

Figure 22

Distribution des types de produits utilisés par les personnes atteintes d'hémophilie sous prophylaxie





PROGRAMME D'ACCRÉDITATION DE LA QUALITÉ DES DONNÉES DU RMTC

L'objectif du Programme d'accréditation de la qualité des données est de standardiser les procédures entre les CTH et de veiller à l'excellente qualité de toutes les données saisies dans le RMTC grâce à un processus fiable de validation et de nettoyage des données visant à renforcer leur exactitude, leur uniformité et leur exhaustivité.

Toutes les données sont évaluées sur la base de deux critères de qualité :

- Exhaustivité : tous les champs doivent être remplis
- Exactitude : toutes les données doivent être valides et uniformes

L'équipe chargée de la qualité des données du RMTC collabore avec l'ensemble des CTH, en dispensant des formations et en faisant des retours sur la qualité des données. Toute donnée incomplète ou non uniforme est signalée au CTH concerné par le biais d'un formulaire de demande de précision, invitant à une mise à jour des données. Chaque CTH est évalué sur place sur son niveau général de qualité des données, selon les critères du classement de qualité des données du RMTC (figure 23).



71 % (65)
DES CTH

ONT ATTEINT LE PLUS HAUT NIVEAU DE
QUALITÉ DES DONNÉES ET ONT OBTENU LA
QUALIFICATION DE « LEADERS »

(SCORE DE QUALITÉ DES DONNÉES DE 95 % OU PLUS)

Tout au long de l'année, l'équipe du RMTC a fourni des retours sur la qualité des données et dispensé des formations à la fois aux CTH participant déjà au programme mais également à ceux l'ayant rejoint. En 2022, l'équipe du RMTC a travaillé directement avec 91 CTH, parmi lesquels 63 (80 %) ont été classés « leaders » avec un score de qualité des données égal ou supérieur à 95 %, ce qui correspond au niveau le plus élevé de qualité des données.

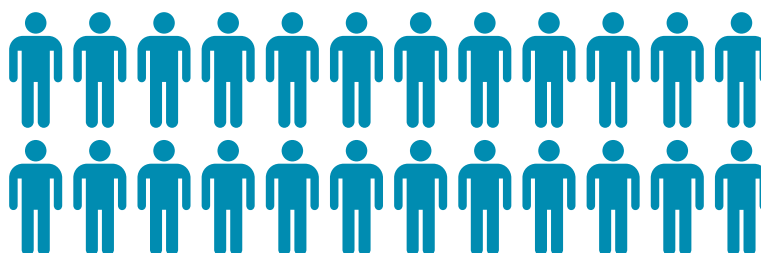
Figure 23

Échelle d'évaluation de la qualité des données du RMTC

LEADERS

Score de 95 % à 100 %

71 % (65 CTH)



AVANCÉ

Score de 85 % à 94 %

19 % (17 CTH)



INTERMÉDIAIRE

Score de 75 % à 84 %

9 % (8 CTH)



DÉVELOPPÉ

Score de 50 % à 74 %

0 % (0 CTH)



MINIMUM

Score de 0 % à 49 %

1 % (1 CTH)



N.B. : les données importées via le Programme international d'intégration de données ne sont pas vérifiées par le Programme d'accréditation de la qualité des données du RMTC.

PROGRAMME INTERNATIONAL D'INTÉGRATION DE DONNÉES

Les registres, grâce à une collaboration internationale entre les pays, offrent une occasion de centraliser suffisamment de données pour améliorer la connaissance et les faits probants relatifs aux maladies rares dans diverses régions et dans le cadre d'économies différentes. Le Programme international d'intégration de données permet de fusionner les ressources provenant des registres sur l'hémophilie existants et d'optimiser l'utilité des données déjà disponibles en facilitant le transfert des données des registres de patients existants dans le RMTC. Un protocole d'importation des données issues de registres existants dans le RMTC a été développé et testé.

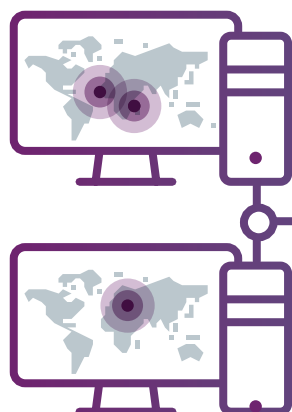
En 2019, le RMTC a débuté une collaboration pour l'intégration de données avec le Registre du programme sur l'hémophilie de la Tchéquie. Depuis 2019, des données anonymisées provenant de ce registre sont importées chaque année dans le RMTC. À ce jour, les données de 2018, 2019, 2020 et 2021 sur plus de 870 personnes atteintes d'hémophilie ont été recueillies et mises à jour chaque année.

En 2021, le Registre des troubles héréditaires de la coagulation de la Société thaïlandaise d'hématologie a collaboré avec le RMTC pour intégrer ses données 2020 et 2021 dans le registre mondial. Huit des 10 CTH des hôpitaux universitaires ont participé à cette opération. À la fin 2021, les données de 300 personnes atteintes d'hémophilie A et B avaient été importées dans le RMTC. Au delà d'une intégration réussie des données du registre thaïlandais dans le RMTC, le partenariat entre la Société thaïlandaise d'hématologie et la FMH a produit un autre résultat : un article dans la revue Haemophilia expliquant le processus d'intégration des données entre les deux registres.

Le Programme international d'intégration de données est accessible à tous les pays qui souhaiteraient rejoindre cette initiative mondiale en partageant leurs données nationales et en permettant aux personnes atteintes d'hémophilie de leur pays d'être représentées dans le RMTC. Nous encourageons les individus intéressés à contacter la FMH à l'adresse suivante : wbd@wfh.org.

REGISTRES NATIONAUX DE L'HÉMOPLILIE

LIEUX MULTIPLES



CARTOGRAPHIE DES DONNÉES

- TRANSFORMATION
- INTÉGRATION



RMTC

SUÈDE



PROGRAMME DE SOUTIEN À LA RECHERCHE DU RMTC

Le Programme de soutien à la recherche du RMTC fête ses 5 ans !

Le Programme de soutien à la recherche du RMTC vise à soutenir les centres de traitement de l'hémophilie (CTH) dans la collecte, l'analyse et l'utilisation des données du RMTC en proposant des bourses de recherche au montant limité. Ce programme est ouvert à tous les CTH participants au RMTC.

Félicitations aux dix CTH qui ont reçu en 2022 des fonds pour leur projet de recherche. Depuis 2018, nous avons aidé à financer 39 projets de recherche dans 21 pays.

Depuis 2018 :



PAYS

21



PROJETS DE RECHERCHE

39



CTH AYANT PARTICIPÉ

39



SOMME TOTALE
ATTRIBUÉE

>170 000
DOLLARS



PUBLICATIONS DANS DES
CONFÉRENCES INTERNATIONALES
(ABSTRACTS ET ARTICLES DE FOND)

21

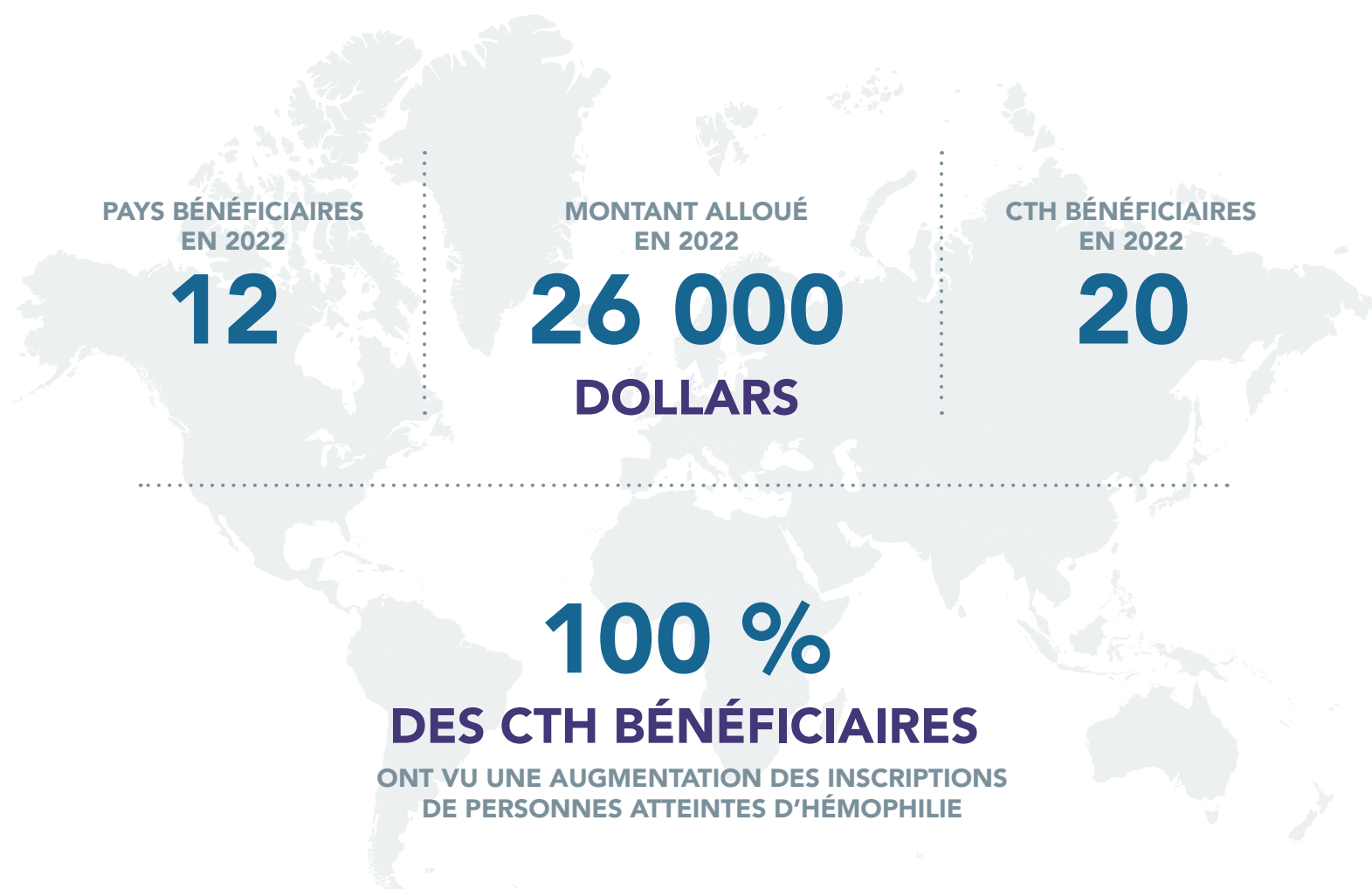
PROGRAMME DE FINANCEMENT DES CTH DU RMTC

Le Programme de financement des CTH du Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC) vise à soutenir financièrement la collecte de données dans les CTH participant au RMTC dans les pays à revenu faible et intermédiaire de la tranche inférieure.

Ce programme est destiné à aider les CTH à renforcer le recrutement des patients, l'enregistrement des consultations de suivi et l'utilisation d'outils d'évaluation des capacités fonctionnelles et de la qualité de vie. Les CTH admissibles reçoivent une compensation basée sur le nombre de patients actifs inscrits dans le RMTC ou sur le nombre de patients atteints d'hémophilie ou de la maladie de Willebrand suivis au sein du CTH au moment de la candidature. Les fonds sont alloués pour une période d'un an.

L'impact du programme se démontre par l'amélioration significative du recrutement des patients et de la collecte des données en général. Les CTH bénéficiaires de ce programme ont ainsi recruté 899 nouvelles personnes atteintes d'hémophilie en 2022.

Pour en savoir plus, rendez-vous sur notre [site web](#).



APPLICATION MOBILE myWBDR

myWBDR est une application mobile destinée aux personnes atteintes d'hémophilie, afin de leur donner les moyens de suivre plus facilement leur traitement et de contribuer à la recherche dans ce domaine. L'application myWBDR permet aux utilisateurs de suivre les saignements, le niveau de douleur associé aux saignements, le traitement et les changements dans la qualité de vie liée à la santé. Les personnes atteintes d'hémophilie peuvent enregistrer un saignement et un traitement dans myWBDR en moins d'une minute.

L'application myWBDR a été officiellement lancée en mai 2022. Au moment de la publication du présent rapport, plus de 50 patients de 11 pays utilisent myWBDR. Plus de 200 saignements et plus de 1 200 traitements ont été enregistrés. Les données de myWBDR permettent aux professionnels de santé de suivre l'état de santé des patients. L'utilisation de ces données sur les résultats rapportés par les patients dans myWBDR permet d'améliorer les soins et les traitements.

Au moment de la rédaction du présent rapport, myWBDR est disponible pour toute personne ayant été diagnostiquée avec une hémophilie A ou B et qui est inscrite dans un CTH participant au RMTC. L'application myWBDR fonctionne hors ligne, de sorte que le patient peut enregistrer les données relatives aux saignements et au traitement sans connexion à Internet. Une fois la connexion rétablie, les données sont transmises directement au RMTC. Actuellement, myWBDR est disponible en anglais, français, hindi, russe, espagnol, thaï et vietnamien. L'équipe du RMTC travaille à l'inclusion de langues supplémentaires en 2023, dont l'arabe et le portugais. Si votre centre de soins participe au RMTC et que vous souhaitez utiliser myWBDR, vous pouvez contacter votre CTH et lui demander de lancer le processus d'inscription à partir du RMTC. Si vous avez des questions ou si vous souhaitez obtenir plus d'informations sur myWBDR, contactez-nous à l'adresse suivante : myWBDR@wfh.org.

ANNEXE 1 – ENSEMBLE DE DONNÉES

Ensemble de données du RMTC

Données démographiques	Diagnostics	Tableau clinique
Date de naissance	Date du diagnostic	Saignements
Sexe	Type d'hémophilie	Articulations cibles
Pays de résidence	Sévérité de l'hémophilie	Traitements
Emploi	Taux de facteur	Inhibiteurs
Éducation	Antécédents d'inhibiteurs	Hospitalisation
État civil	Historique des traitements	Mortalité
	Historique des saignements	Effets indésirables
	Test génétique	Comorbidités
	Groupe sanguin	Évaluation des capacités fonctionnelles*
	Antécédents familiaux	Évaluation de la qualité de vie**
		COVID-19

Les champs en gras constituent l'ensemble minimal de données, qu'il est nécessaire de remplir.

* L'évaluation des capacités fonctionnelles comprend : l'outil Score relatif à la santé articulaire du patient hémophile, les maladies articulaires, l'amplitude des mouvements, le score de Gilbert de la FMH et l'outil Functional Independence Score for Haemophilia.

** Évaluation de la qualité de vie : EQ-5D-5L.

ANNEXE 2 – CTH PARTICIPANTS

Pays	Ville-Clinique
Afrique du Sud	- Bloemfontein - University of the Free State - Kimberley - Kimberley Hospital
Algérie	- Annaba - Service d'hématologie CHU Annaba - Constantine - Unité hémophilie et maladies hémorragiques héréditaires
Argentine	- Bahía Blanca – CARDHE - Buenos Aires - Fundación de la Hemofilia and Instituto De Investigaciones Hematológicas « Dr. Mariano R.Castex »
Bangladesh	- Chittagong - Chittagong Medical College Hospital - Dhaka - Bangabandhu Sheikh Mujib Medical University - Dhaka - Dhaka Medical College - Dhaka - Lab One Foundation - Rajshahi - Rajshahi Medical College & Hospital
Barbade (La)	Bridgetown - Queen Elizabeth Hospital
Belgique	Bruxelles - Cliniques Universitaires Saint-Luc
Cameroun	Yaoundé - CHU Yaoundé
Côte d'Ivoire	Abidjan - CHU de Yopougon
Cuba	La Havane - Instituto de Hematología e Inmunología
Égypte	- Le Caire - Pediatric Hemophilia Centre, Ain Shams University - Giza - Shabrawishi Hospital - Mansoura - Mansoura University Children Hospital - Zagazig - Pediatrics department, Zagazig University
États-Unis	- Cincinnati - University of Cincinnati Hemophilia Treatment Center - Winston-Salem - Wake Forest Baptist Health
Éthiopie	Addis Ababa - Tikur Anbessa Hospital
Ghana	Kumasi - Komfo Anokye Teaching Hospital
Guinée	Conakry - Hopital National Ignace Deen, CHU de Conakry
Inde	- Aluva - Haemophilia Treatment Centre, District Hospital - Bhopal - Gandhi Medical College - Kochi - Amrita Institute of Medical Sciences - Ludhiana - Christian Medical College - Manipal - Manipal Academy of Higher Education (MAHE) and Hemophilia Society Manipal Chapter - Tiruvalla - Believers Church Medical College Hospital
Indonésie	Banjarmasin - Ulin General Hospital
Iran	Ahvaz - Baghaei 2 hospital
Iraq	- Bagdad - Hemophilia Center - Medical City - Bagdad - National Center of Hematology - Al-Mustansirya University - Basra - Basra Center for hereditary Blood Diseases
Japon	Tokyo - Ogikubo Hospital
Kenya	- Eldoret - Moi Teaching and Referral Hospital - Nairobi - Kenyatta National Hospital
Kirghizistan	- Bishkek - National Center for Maternity and Childhood - Bishkek - National Center of Oncology and Hematology - Osh - Adult Hematology - Osh Interregional Joint Clinical Hospital - Osh - Dept of Pediatric Hematology - Interregional Children's Clinical Hospital
Madagascar	Antananarivo - CHU Joseph Ravoahangy Andrianavalona (HJRA)
Malaisie	- Alor Setar - Hospital Sultanah Bahiyah - Ampang - Hospital Ampang - George Town - Hospital Pulau Pinang - Johor Bahru - Hospital Sultan Ismail - Johor Bahru - Hospital Sultanah Aminah - Klang - Hospital Tengku Ampuan Rahimah - Kota Bharu - Hospital Raja Perempuan Zainab II - Kota Kinabalu - Hospital Queen Elizabeth - Kota Kinabalu - Hospital Wanita dan Kanak-Kanak Sabah - Kuala Lumpur - Hospital Kuala Lumpur - Kuala Terengganu - Hospital Sultanah Nur Zahirah - Kuching - Hospital Umum Sarawak

Pays	Ville-Clinique
	• Melaka - Hospital Melaka • Seremban - Hospital Tuanku Ja'afar • Taiping - Hospital Taiping
Malawi	• Lilongwe - Kamuzu Central Hospital
Maroc	• Rabat - Adultes - Centre de Référence de l'Hémophilie, Hôpital Ibn Sina • Rabat - Enfants - Centre de Traitement de l'hémophilie de Rabat, Hôpital d'Enfants de Rabat
Népal	• Kathmandu - Civil Service Hospital
Nigéria	• Abuja - Hospital Nacional, Abuja • Benin - Hospital de la Universidad de Benín • Estado de Enugu - CTH del Sureste, Departamento de Hematología, UNTH Ituku Ozalla Enugu • Gombe - Universidad Estatal de Gombe • Ibadan - Universidad de Ibadan • Kano - Hospital Universitario Aminu Kano • Lagos - Hospital Universitario de Lagos
Nouvelle-Zélande	• Christchurch - Christchurch Hospital • Palmerston North - Palmerston North hospital
Ouganda	• Kampala - Mulago Hospital
Pakistan	• Karachi - Haemophilia Welfare Society, Karachi • Lahore - Haemophilia Treatment Centre • Rawalpindi - Haemophilia Treatment Centre
Panama	• Panamá City - Hospital del Niño
Philippines	• Manille - University of Santo Tomas Hospital
Portugal	• Lisbonne - Comprehensive Care Centre of Congenital Coagulopathies, Santa Maria Hospital
Sénégal	• Dakar - Centre National de Transfusion Sanguine
Serbie	• Belgrade - Mother and Child Health Care Institute of Serbia "Dr Vukan Cupic"
Soudan	• Khartoum - Haemophilia Center, Khartoum Teaching Hospital
Syrie	• Damas - Syrian Hemophilia Society (SHS)
Tchéquie	• Brno - University Hospital: Dpt. of Clinical Hematology • Brno - University Hospital: Dpt. of Pediatric Hematology • České Budějovice - Dpt. of Clinical Hematology • České Budějovice - Pediatric Dpt. • Hradec Králové - IV. Internal and Hematology Dpt. • Hradec Králové - University Hospital: Dpt. of Pediatric Medicine • Liberec - Regional Hospital: Dpt. of Clinical Hematology • Olomouc - University Hospital: Dpt. of Pediatric Medicine • Olomouc - University Hospital: Haemato-Oncology Dpt. • Ostrava - University Hospital: Blood centre • Ostrava - University Hospital: Dpt. of Pediatric Medicine • Pilsen - Hemacentrum • Pilsen - University hospital: Dpt. of Biochemistry and Hematology • Pilsen - University hospital: Pediatric Dpt. • Prague - University Hospital in Motol: Dpt. of Pediatric Hematology and Oncology • Ústí nad Labem - Masaryk Hospital: Dpt. of Clinical Hematology • Ústí nad Labem - Masaryk Hospital: Pediatric Dpt. - Hematology
Thaïlande	• Bangkok - Department of medicine, Siriraj Hospital • Bangkok - Department of medicine, Thammasat University • Bangkok - Department of paediatrics, Chulalongkorn University • Bangkok - Department of paediatrics, Ramathibodi Hospital • Bangkok - Department of paediatrics, Thammasat University • Chiang Mai - Chiang Mai University Hospital • Nakohn Ratchasima - Department of paediatrics, Maharat Nakohn Ratchasima Hospital • Songkla - Department of paediatrics, Prince of Songkla University
Tunisie	• Tunis - Hôpital Aziza Othmana
Venezuela	• Caracas - Centro Nacional de Hemofilia
Vietnam	• Hanoi - National Children's Hospital • Hanoi - National Institute of Hematology and Blood Transfusion • Ho Chi Minh Ville - Blood Transfusion Hematology
Zambie	• Lusaka - University Teaching Hospital

MERCI AUX PERSONNES ATTEINTES D'HÉMOPHILIE

Un grand merci à chacune des personnes atteintes d'hémophilie inscrite au RMTC qui a gracieusement accepté de partager ses données : vous nous aidez à améliorer la qualité des soins destinés aux personnes atteintes d'hémophilie dans le monde entier !

MERCI AUX CTH

Merci à toutes les équipes dévouées des centres de traitement de l'hémophilie qui travaillent d'arrache pied pour faire en sorte que les données soient conformes aux standards de qualité du RMTC !

MERCI À NOS PARTENAIRES

La FMH remercie tous les partenaires pour leur généreux soutien financier, qui nous permet de continuer à développer cette initiative majeure.

Le RMTC bénéficie du soutien financier de :

Partenaires visionnaires



Partenaires collaborateurs



GLOSSAIRE

Cryoprécipité : composé de sang humain préparé à partir de plasma frais. Le cryoprécipité est riche en facteur VIII, en facteur de Willebrand, ainsi qu'en fibrinogène (facteur I). Il ne contient pas de facteur IX.

Concentrés de facteur : préparation lyophilisée issue du fractionnement de facteurs de coagulation individuels, ou de groupes de facteurs dérivés de dons de sang.

Concentré de facteur à demi-vie prolongée : nouvelle génération de concentrés de facteur recombinant, ce qui prolonge leur demi-vie. La demi-vie est le temps nécessaire pour que le facteur transfusé perde la moitié de sa puissance. Le facteur VIII traditionnel possède une demi-vie de 8 à 12 heures; une demi-vie prolongée d'un facteur est définie par un ratio supérieur à 1,3 fois sa demi-vie traditionnelle.

Revenu national brut : revenu national brut (RNB) par habitant (en dollars US courants), calculé par la Banque mondiale. Les RNB sont regroupés en quatre groupes de revenus selon la méthode Atlas. Cette classification est mise à jour le 1^{er} juillet de chaque année.

Hémophilie A : maladie résultant d'une déficience en facteur VIII.

Hémophilie B : maladie résultant d'une déficience en facteur IX.

Centre de traitement de l'hémophilie : centre médical spécialisé proposant diagnostic, traitement et soins des personnes atteintes d'hémophilie ou d'autres troubles héréditaires de la coagulation.

VIH : virus de l'immunodéficience humaine. Il est responsable du sida.

Inhibiteurs : une personne atteinte d'hémophilie présente des inhibiteurs lorsque son système immunitaire attaque les molécules contenues dans le concentré de facteur, le rendant inefficace.

Hémophilie mineure : maladie résultant d'un niveau d'activité coagulante du facteur VIII ou du facteur IX supérieure à 5 % et inférieure à 40 % de l'activité normale dans la circulation sanguine. (Les définitions nationales varient sur la limite supérieure de l'hémophilie mineure ; elle va de 24 à 50 %.)

Hémophilie modérée : maladie résultant d'un niveau d'activité coagulante du facteur VIII ou du facteur IX comprise entre 1 et 5 % de l'activité normale dans la circulation sanguine.

Produits dérivés du plasma : concentrés de facteur contenant du facteur VIII ou IX issus du fractionnement du sang.

Registre : base de données dans laquelle figure les personnes identifiées comme étant atteintes d'hémophilie ou d'un trouble de la coagulation. Un registre comprend les coordonnées des patients, les traitements et les complications.

Hémophilie sévère : maladie résultant d'un niveau d'activité coagulante du facteur VIII ou du facteur IX inférieure à 1 % dans la circulation sanguine.

Concentré de facteur à demi-vie standard : concentré de facteur recombinant traditionnel présentant une demi-vie de 8 à 12 heures.

Articulation cible : articulation présentant trois saignements ou plus au cours d'une période de 6 mois consécutifs. Si le nombre de saignements est inférieur ou égal à 2 pendant 12 mois consécutifs, l'articulation en question n'est plus considérée comme articulation cible⁴.

RÉFÉRENCES

¹ Fédération mondiale de l'hémophilie. Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC). ClinicalTrials.gov Identifier: NCT03327779. Consulté le 31 octobre, 2017. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03327779>

² Organisation mondiale de la santé. 2022. Définition des groupes régionaux. <https://www.who.int/about/who-we-are/regional-offices>. Consulté le 10 mars 2023.

³ Banque mondiale 2023. Données de la Banque mondiale. <https://data.worldbank.org/>. Consulté le 25 octobre 2022.

⁴ Blanchette VS, Key NS, Ljung LR, Manco-Johnson MJ, van den Berg HM, Srivastava A ; Subcommittee on Factor VIII, Factor IX and Rare Coagulation Disorders of the Scientific and Standardization Committee of the International Society on Thrombosis and Hemostasis. Definitions in hemophilia : communication du SSC de l'ISTH. J Thromb Haemost. Novembre 2014 ;12(11):1935-9.

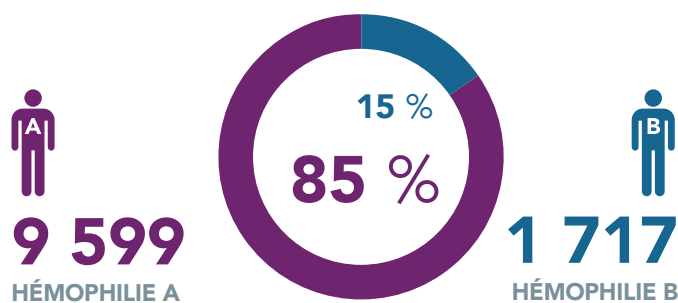
SYNTHÈSE DU RAPPORT SUR LES DONNÉES 2022

115 **43** **11 374**

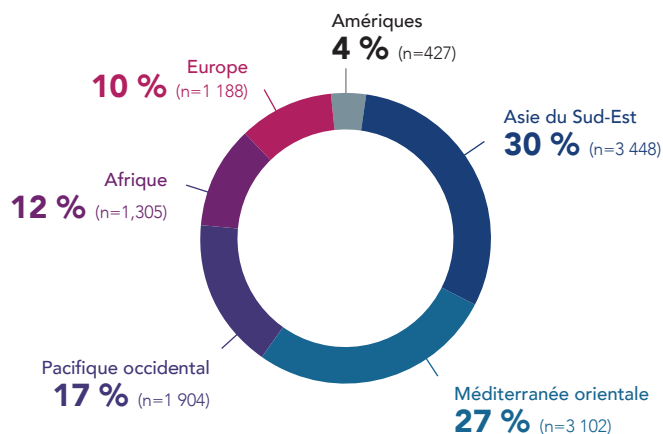
CTH
INSCRITS

PAYS
REPRÉSENTÉS

PATIENTS
INSCRITS



Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par région



Fédération mondiale de l'hémophilie

1425, boulevard René-Lévesque Ouest, Bureau 1200
Montréal (Québec) H3G 1T7, Canada

T +1 514.875.7944 F +1 514.875.8916
wfh@wfh.org

Les sollicitations caritatives aux fins communes de la FMH et de la FMH USA aux États-Unis sont menées par l'intermédiaire de la FMH USA, une entité affiliée de type 501(c)3.