



# SDM

OUTIL DE PRISE DE DÉCISION  
PARTAGÉE DE LA FMH

## TRAITEMENT PAR ANTICORPS BISPÉCIFIQUE

### TRAITEMENT PAR ANTICORPS BISPÉCIFIQUE

#### **Que sont les traitements par anticorps bispécifique ?**

Les traitements par anticorps bispécifique sont des traitements sans facteur de remplacement et sont utilisés pour traiter l'hémophilie A.

Les anticorps bispécifiques sont des protéines en forme de Y qui établissent un lien sélectif avec d'autres protéines. Ces anticorps bispécifiques peuvent se lier à deux protéines différentes en même temps. Dans le cas de l'hémophilie A, l'anticorps agit comme un lien entre le facteur IXa et le facteur X, ce qui aide le sang à coaguler plus efficacement. Le lien mis en place permet d'imiter la fonction du facteur VIII activé manquant (le facteur VIIIa présente ce qu'on appelle une activité mimétique).

#### **Quels sont les différents types de traitements par anticorps bispécifique ?**

Un traitement par anticorps bispécifique, l'emicizumab, imitant l'activité du facteur VIIIa, a été approuvé pour le traitement de l'hémophilie A<sup>1</sup>. Le Mim8 est un autre mimétique du facteur VIIIa qui fait l'objet d'essais cliniques de phase 3<sup>2</sup>.

#### **En quoi le mécanisme d'action des traitements par anticorps bispécifique se distingue-t-il de celui des autres traitements de l'hémophilie ?**

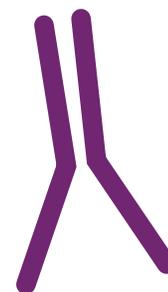
Dans le domaine de l'hémophilie, il existe plusieurs catégories de traitement : les traitements substitutifs, ceux par anticorps bispécifique, ceux par agents de rééquilibrage de l'hémostase, et la thérapie génique. Tous ces traitements permettent au sang de coaguler plus efficacement, mais chacun fonctionne de manière différente.

Les traitements substitutifs permettent d'augmenter provisoirement le taux de facteur en injectant le facteur de coagulation nécessaire directement dans le sang d'une personne atteinte d'hémophilie.

Les anticorps bispécifiques sont des protéines en forme de Y qui établissent un lien entre le facteur IXa et le facteur X, ce qui aide le sang à coaguler plus efficacement. Le lien mis en place permet d'imiter la fonction du facteur VIII activé manquant (le facteur VIIIa présente ce qu'on appelle une activité mimétique).

Les traitements par rééquilibrage de l'hémostase rétablissent l'équilibre perturbé entre les capacités de coagulation et d'anticoagulation du sang, améliorant ainsi la coagulation sanguine.

La thérapie génique introduit une copie fonctionnelle du gène du facteur de coagulation manquant. Une fois le gène introduit, l'organisme peut produire la protéine manquante et maintenir des niveaux adéquats de facteur de coagulation, par lui-même, pendant une période prolongée.



traitements  
par anticorps  
bispécifique

## TRAITEMENT PAR ANTICORPS BISPÉCIFIQUE

**Qui peut bénéficier des anticorps bispécifiques ?**

Les anticorps bispécifiques agissent en imitant les effets du facteur VIII activé et ne sont donc indiqués que pour les personnes atteintes d'hémophilie A. Le recours à l'emicizumab est approuvé pour les personnes avec inhibiteurs contre le facteur VIII, et pour les personnes sans inhibiteurs atteintes d'hémophilie sévère (activité du FVIII < 1 %) ou modérée (activité du FVIII entre 1 et 5 %) avec un phénotype hémorragique sévère<sup>1</sup>. L'emicizumab peut être utilisé dans tous les groupes d'âge (enfants et adultes).

**Comment les traitements prophylactiques par anticorps bispécifique sont-ils administrés ?**

Les traitements par anticorps bispécifique sont administrés par injection sous-cutanée ; il n'est pas nécessaire de trouver une veine. L'injection dure environ une minute et peut être effectuée à domicile ou à l'hôpital.

**À quelle fréquence le traitement prophylactique par anticorps bispécifique est-il administré ?**

Le traitement prophylactique par emicizumab est administré de façon hebdomadaire, toutes les deux semaines ou une fois par mois, au gré du patient<sup>1</sup>. La fréquence choisie est mise en place après une période initiale de dose de charge de quatre semaines, avec un traitement hebdomadaire.

**Les traitements par anticorps bispécifique peuvent-ils être associés à d'autres traitements de l'hémophilie ?**

Dans certains cas, des traitements supplémentaires (traitements par facteur de remplacement ou par agents de contournement) peuvent être nécessaires, en particulier en cas d'hémorragie traumatique ou d'intervention chirurgicale. Il convient d'en discuter avec l'équipe soignante.

## EFFICACITÉ DES TRAITEMENTS PAR ANTICORPS BISPÉCIFIQUE

**Comment les taux de facteur de coagulation sont-ils affectés ?**

Les anticorps bispécifiques ne modifient pas les taux de facteur de coagulation. Des études montrent que grâce aux traitements mimétiques du facteur VIIIa, le patient est atteint d'une forme d'hémophilie mineure.

**Comment les traitements par anticorps bispécifique affectent-ils le taux de saignement annualisé ?**

Toute forme de traitement prophylactique régulier est susceptible de réduire le taux de saignement annualisé. Les essais cliniques portant sur l'emicizumab ont fait état d'un taux médian de saignement annualisé de 1,5 pour les patients prenant 1,5 mg/kg chaque semaine et de 1,3 pour ceux prenant 3 mg/kg toutes les deux semaines, 55,6 % et 60 % des patients n'ayant respectivement signalé aucun saignement<sup>1</sup>.

## INNOCUITÉ DES TRAITEMENTS PAR ANTICORPS BISPÉCIFIQUE

---

***Quels sont les effets secondaires possibles des traitements par anticorps bispécifique ?***

Les effets secondaires les plus fréquents rapportés dans le traitement par emicizumab sont des réactions autour du site d'injection, des maux de tête et des douleurs articulaires (arthralgie), qui surviennent chez 1 patient sur 10 environ.

***Existe-t-il des effets secondaires graves associés aux traitements par anticorps bispécifique ?***

Aucun problème de sécurité majeur n'a été détecté avec l'emicizumab chez les personnes atteintes d'hémophilie A sans inhibiteurs. Cependant, chez les personnes avec inhibiteurs, il existe un risque d'événements thromboemboliques (caillots sanguins dans les veines ou les artères) graves et potentiellement mortels lorsque l'emicizumab est utilisé en association avec un concentré de complexe prothrombinique activé<sup>1</sup>.

## SUIVI ET SURVEILLANCE APRÈS UN TRAITEMENT PAR ANTICORPS BISPÉCIFIQUE

---

***À quelle fréquence faut-il faire l'objet d'un suivi et d'une surveillance dans le cadre des traitements par anticorps bispécifique ?***

Comme pour toutes les catégories de traitement de l'hémophilie, il est conseillé à l'équipe soignante d'assurer un suivi régulier. Un examen clinique doit être effectué chaque année et selon les besoins.

***Que se passe-t-il en cas de saignement, de blessure ou d'intervention chirurgicale ?***

En cas de saignement, de blessure ou d'intervention chirurgicale planifiée, il peut être nécessaire d'avoir recours à des traitements supplémentaires. Il convient d'en discuter avec l'équipe soignante.

## TRAITEMENT PAR ANTICORPS BISPÉCIFIQUE CHEZ LES ENFANTS ET LES ADOLESCENTS

---

*Les traitements par anticorps bispécifique sont-ils approuvés pour une utilisation chez les enfants et les adolescents ?*

Oui. L'utilisation des anticorps bispécifiques est autorisée chez les patients pédiatriques, y compris les nouveau-nés et les enfants, avec ou sans inhibiteurs du facteur VIII.

---

1 Hemlibra Prescribing Information. Disponible sur : [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2024/761083s018lbl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2024/761083s018lbl.pdf).

2 ClinicalTrials.gov. Essais de phase 3 en cours pour Mim8 : NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238 et NCT05878938.

Dernière mise à jour : mars 2024

Il s'agit d'un document évolutif qui sera mis à jour deux fois par an. Les dates limites sont fixées au 30 juin et au 31 décembre, les mises à jour ayant lieu le(s) mois suivant(s). Toute nouvelle information recueillie après ces dates limites sera incluse dans la mise à jour suivante.