



WBDR
WFH WORLD BLEEDING
DISORDERS REGISTRY

REGISTRE MONDIAL DES TROUBLES DE LA COAGULATION

.....
RAPPORT SUR LES DONNÉES 2023



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
Remerciements	2
MESSAGE DU PRÉSIDENT ET DU VP MÉDICAL	3
À PROPOS DU RMTC	4
MÉTHODOLOGIE DU RMTC	4
Source des données du rapport	5
Mise en œuvre	5
Comité de protection des personnes/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 patient·es	5
Programme d'intégration des données internationales	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 2023 DU RMTC	7
COMITÉ DIRECTEUR DU RMTC DE LA FMH	7
REPRÉSENTATION MONDIALE AU SEIN DU RMTC, 2023	8
DONNÉES CONTENUES DANS LE RAPPORT 2023 DU RMTC HÉMOPHILIE	9
PARTICIPATION	9
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie	12
DONNÉES DÉMOGRAPHIQUES SUR L'HÉMOPHILIE	13
Type et sévérité de l'hémophilie	14
Âge des personnes atteintes d'hémophilie inscrites au RMTC	15
DIAGNOSTIC ET ANTÉCÉDENTS CLINIQUES POUR L'HÉMOPHILIE	16
Âge au diagnostic	16
Âge au premier saignement et au premier saignement articulaire	18

EMPLOI	19
DONNÉES CLINIQUES SUR L'HÉMOPHILIE	20
Saignements	21
Taux annualisés de saignements et taux annualisés de saignements articulaires	22
TAS et TASA avec et sans prophylaxie	27
Articulations cibles	28
Inhibiteurs	29
Hospitalisation	30
TRAITEMENT	33
Utilisation de la prophylaxie	34
DONNÉES CONTENUES DANS LE RAPPORT 2023 SUR LE RMTC MALADIE DE WILLEBRAND	36
PARTICIPATION	37
Répartition des personnes atteintes de la maladie de Willebrand	38
DONNÉES DÉMOGRAPHIQUES POUR LA MW	39
Type de MW	40
DONNÉES CLINIQUES SUR LA MW	41
PROGRAMMES DU RMTC	42
PROGRAMME D'ACCRÉDITATION DE LA QUALITÉ DES DONNÉES DU RMTC	42
PROGRAMME D'INTÉGRATION DES DONNÉES INTERNATIONALES	44
PROGRAMME DE SOUTIEN À LA RECHERCHE DU RMTC	45
PROGRAMME DE FINANCEMENT DES CTH DU RMTC	46
APPLICATION MOBILE myWBDR	47
ANNEXE 1 – ENSEMBLE DE DONNÉES DU RMTC	48
ANNEXE 2 – CTH PARTICIPANTS	49
REMERCIEMENTS	52
GLOSSAIRE	53



À PROPOS DE LA FMH

Depuis près de 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 patient-es 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 RENDRE DURABLES LES SOINS AUX PERSONNES ATTEINTES D'UN TROUBLE HÉRÉDIRAIRE 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 (MSc)
- Dr Emily Ayoub (PhD)
- Ellia Tootoonchian (MPH)
- Dr Pamela Dakik (PhD)
- Dr Toong Youttanankorn (PhD)

Un grand merci à Ticiano Carvalho Pereira pour sa contribution à l'analyse statistique des données du RMTC.

MESSAGE DU PRÉSIDENT ET DU VP MÉDICAL

Mars 2024

Chers membres de la communauté des troubles de la coagulation,

Nous avons le plaisir de vous présenter le Rapport sur les données 2023 du Registre mondial des troubles de la coagulation (RMTC). Ce rapport marque la sixième année de nos efforts mondiaux visant à broser un tableau systématique de l'expérience clinique des personnes atteintes d'hémophilie. C'est également la toute première année que nous recueillons des données sur les personnes atteintes de la maladie de Willebrand du monde entier. Nous espérons que ces données permettront de soutenir la recherche et les initiatives de plaidoyer, seront un outil précieux pour la prise de décision et amélioreront de manière générale les soins aux personnes atteintes d'un trouble de la coagulation.

Au 31 décembre 2023, plus de 13 000 personnes atteintes d'hémophilie de 119 centres de traitement de l'hémophilie (CTH) et de 44 pays différents s'étaient déjà jointes à nous dans notre volonté de recueillir ces données précieuses. Vous trouverez dans ce rapport le résumé des données agrégées de toutes les personnes atteintes d'hémophilie et personnes atteintes de la maladie de Willebrand. Pour la première fois cette année, le RMTC a lancé un recueil de données sur les personnes atteintes de la maladie de Willebrand. 45 CTH de 22 pays ont participé et permis d'inscrire près de 1 000 personnes atteintes de la maladie de Willebrand depuis début 2023.

Le RMTC a fait de grands progrès en matière de participation et d'inscription des patient·es, grâce à des programmes tels que le programme de soutien à la recherche et le programme de financement des CTH, qui ont été de forts catalyseurs du renforcement des capacités de collecte des données.

Au nom de toute la FMH, nous tenons à chaleureusement remercier l'ensemble des professionnel·les de la santé, des personnes atteintes d'hémophilie et des personnes atteintes de la maladie de Willebrand qui prennent part à cette initiative essentielle. Nous nous réjouissons de poursuivre nos collaborations avec les CTH intéressés par une participation au RMTC, afin de faire avancer la mission de la FMH du Traitement pour tous.

Nous voulons également adresser nos remerciements à nos partenaires visionnaires nous ayant permis de développer ce registre, Sobi et Takeda, ainsi qu'à nos partenaires collaborateurs F. Hoffmann-La Roche, Grifols, Novo Nordisk, Pfizer et Sanofi.

Bien à vous,



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 patient·es auxquelles on a diagnostiqué une hémophilie A ou B. C'est un système web de saisie de données qui protège la vie privée, et qui permet le recueil de données patient individuelles, fournissant ainsi un profil clinique de chaque personnes atteintes d'hémophilie.

LE RMTC EST OUVERT À
**TOUTE PERSONNE ATTEINTE
D'HÉMOPHILIE A OU B QUI EST PATIENTE
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 patient confidentielles et anonymisées 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 de protection des personnes, 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) ou de la MW qui est patiente dans un CTH participant. Les CTH sont invités à proposer à toute personne atteinte d'hémophilie A ou B ou de la MW 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 2023 du RMTC sont constituées de données agrégées et anonymisées issues de personnes atteintes d'hémophilie recevant des soins 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](mailto:wbd@wfh.org). L'équipe reste à la disposition des CTH pour les aider à obtenir l'approbation éthique de leur organisation locale.

COMITÉ DE PROTECTION DES PERSONNES/COMITÉ D'ÉTHIQUE

Les centres de traitement de l'hémophilie doivent obtenir l'approbation d'un comité de protection des personnes ou d'un 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 ou de la MW qui souhaitent participer au RMTC doivent être patientes d'un CTH participant et doivent fournir leur consentement éclairé à la saisie de leurs données confidentielles et anonymisées dans le registre. Si une personne 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 patient-es participant au RMTC, l'équipe de soins du CTH entrera dans le RMTC les données patient après chacune de leurs consultations.

COLLECTE DES DONNÉES ET CONSULTATIONS DE SUIVI

Les données patient sont recueillies au moment de la consultation de référence (au cours de laquelle le ou la patiente donne son consentement éclairé) et de toutes les consultations suivantes à la clinique. Lors de la consultation de référence, des données rétrospectives basées sur les six mois précédents sont recueillies. Lors de chacune des consultations de suivi, des données sur la période écoulée depuis la consultation précédente sont recueillies. Cette méthode assure que toutes les données et tous les événements sont bien enregistrés.

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, tous·tes les patient·es entré·es dans le RMTC reçoivent un identifiant patient unique (IPU). L'UPI réduit le risque d'une saisie de doublons 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'UPI et le processus cryptographique, veuillez consulter le document sur [la confidentialité et la sécurité des données](#).

TRANSFERT DE PATIENT·ES

Les patient·es peuvent être transféré·es d'un CTH participant à un autre au sein du RMTC. Cette fonction de transfert est très utile dans les pays où les patient·es reçoivent des soins dans plusieurs CTH.

PROGRAMME D'INTÉGRATION DES DONNÉES INTERNATIONALES

Le RMTC comprend un composant 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 [44](#).



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 [42](#).

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 en webinaire 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 a uniquement accès 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 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 patient-es 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 (marquage CE, Conformité Européenne) et à la norme du Royaume-Uni IG SoC (Information Governance Statement of Compliance), et respectent le Règlement général sur la protection des données. Pour en savoir plus, consultez le document sur [la confidentialité et la sécurité des données](#).

À PROPOS DU RAPPORT SUR LES DONNÉES 2023 DU RMTC

Les données de cette 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 2023. Ces données proviennent de 119 CTH participants (cf. annexe 2), qui représentent 44 pays différents, ayant reçu l'approbation de comités de protection des personnes et ayant inscrit au moins un·e patient·e au sein du RMTC au 31 décembre 2023. Le rapport est divisé en deux sections. La première se concentre sur les personnes atteintes d'hémophilie, et la deuxième présente les principaux points de la première année de collecte de données sur les personnes atteintes de la MW.

Veillez noter que lorsque la date limite des données pour ce rapport a été atteinte (soit le 31 décembre 2023), il est possible que toutes les personnes éligibles des CTH participants n'aient pas encore été inscrites au RMTC. Ainsi, les données présentées dans ce rapport peuvent ne pas être représentatives de la totalité de la population de patient·es de chaque CTH, ce qui limite les possibilités de généralisation. À mesure que la proportion de patient·es inscrit·es au RMTC des CTH participants s'accroît, les données reflèteront de plus en plus fidèlement la population de patient·es de chaque CTH.

Les données 2023 du RMTC sont rapportées grâce à l'utilisation d'une 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 :

- Alfonso Iorio (MD, PhD), co-président
- Emna Gouider (MD), co-présidente
- Barbara Konkle (MD)
- Saliou Diop (MD)
- Cedric Hermans (MD, PhD)
- Catherine Lambert (MD)
- Jamie O'Hara (MSc)
- Glenn Pierce (MD, PhD), vice-président médical de la FMH
- Cesar Garrido, président de la FMH

REPRÉSENTATION MONDIALE AU SEIN DU RMTC, 2023

14 342 personnes atteintes d'hémophilie et personnes atteintes de la maladie de Willebrand ont été inscrites au RMTC

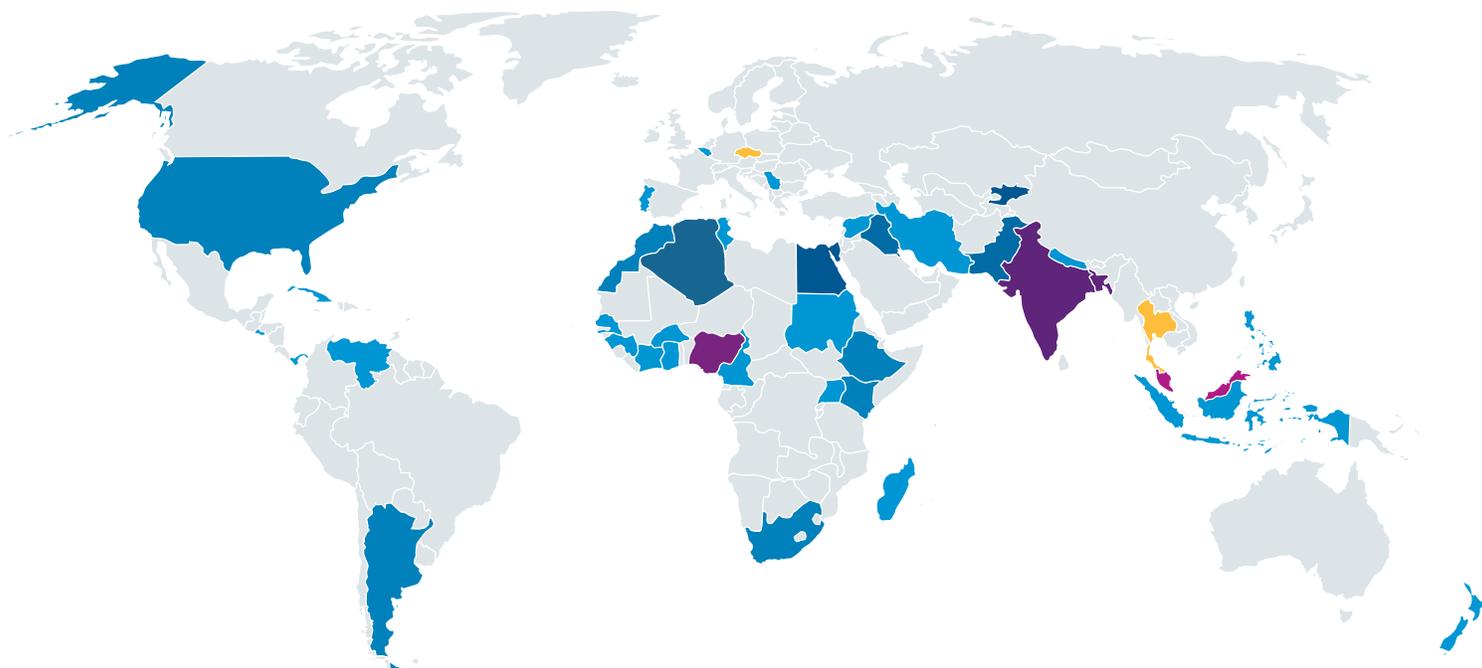


Figure 1
PAYS ET CTH PARTICIPANT
AU RMTC

Nombre de CTH par pays



● Intégration des données

Pour une liste complète des CTH,
voir annexe 2

Afrique du Sud.....	2	Kenya	2
Algérie	2	Kirghizistan	4
Argentine.....	2	Madagascar.....	1
Bangladesh	6	Malaisie.....	15
Barbade (La).....	1	Maroc.....	2
Belgique	1	Népal	1
Burkina Faso.....	1	Nouvelle-Zélande	2
Cameroun.....	1	Nigeria	7
Côte d'Ivoire	1	Ouganda	1
Cuba	1	Pakistan.....	3
République tchèque..	17	Panama	1
Égypte	4	Philippines.....	1
El Salvador.....	1	Portugal	1
États-Unis	2	Sénégal.....	1
Éthiopie	1	Serbie.....	1
Ghana	1	Soudan	1
Guinée	1	Syrie	1
Inde	6	Thaïlande.....	8
Indonésie.....	1	Tunisie.....	1
Iran	1	Venezuela	1
Iraq.....	3		



DONNÉES CONTENUES DANS LE RAPPORT 2023 DU RMTC **HÉMOPHILIE**

119

CTH
PARTICIPANTS

44

PAYS
REPRÉSENTÉS

13 343

PATIENT-ES
INSCRIT-ES

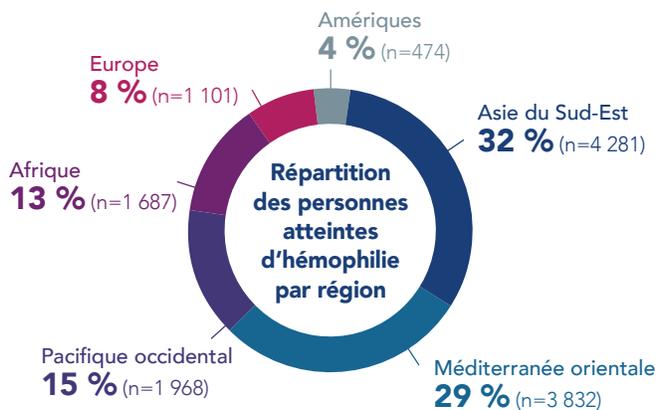
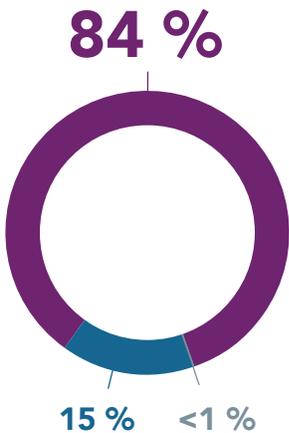


TABLEAU 1

Résumé des participations (hémophilie)

	Formes légères et modérées*	Formes sévères*
Pays, n	43	43
Centres de traitement de l'hémophilie**, n	103	113
Personnes atteintes d'hémophilie, n	6 194	6 616
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par région†, n (%)		
Afrique (n=1 687)	473 (28 %)	796 (47 %)
Amériques (n=474)	125 (26 %)	340 (72 %)
Méditerranée orientale (n=3 832)	1 782 (47 %)	1 989 (52 %)
Europe (n=1 101)	614 (56 %)	475 (43 %)
Asie du Sud-Est (n=4 281)	2 390 (56 %)	1 861 (43 %)
Pacifique occidental (n=1 968)	810 (41 %)	1 155 (59 %)
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par RNB§, n (%)		
Revenu élevé (n=1 309)	606 (54 %)	501 (45 %)
Revenu intermédiaire de la tranche supérieure (n=1 945)	709 (34 %)	1 356 (65 %)
Revenu intermédiaire de la tranche inférieure (n= 7 575)	4 515 (48 %)	4 486 (48 %)
Revenu faible (n=545)	366 (47 %)	273 (35 %)

* Les personnes atteintes d'hémophilie ayant une forme sévère sont celles présentant un taux de facteur strictement inférieur à 1 %. 533 personnes atteintes d'hémophilie dont le degré de sévérité est inconnu ont été exclues, ce qui explique que certains totaux n'atteignent pas 100 %.

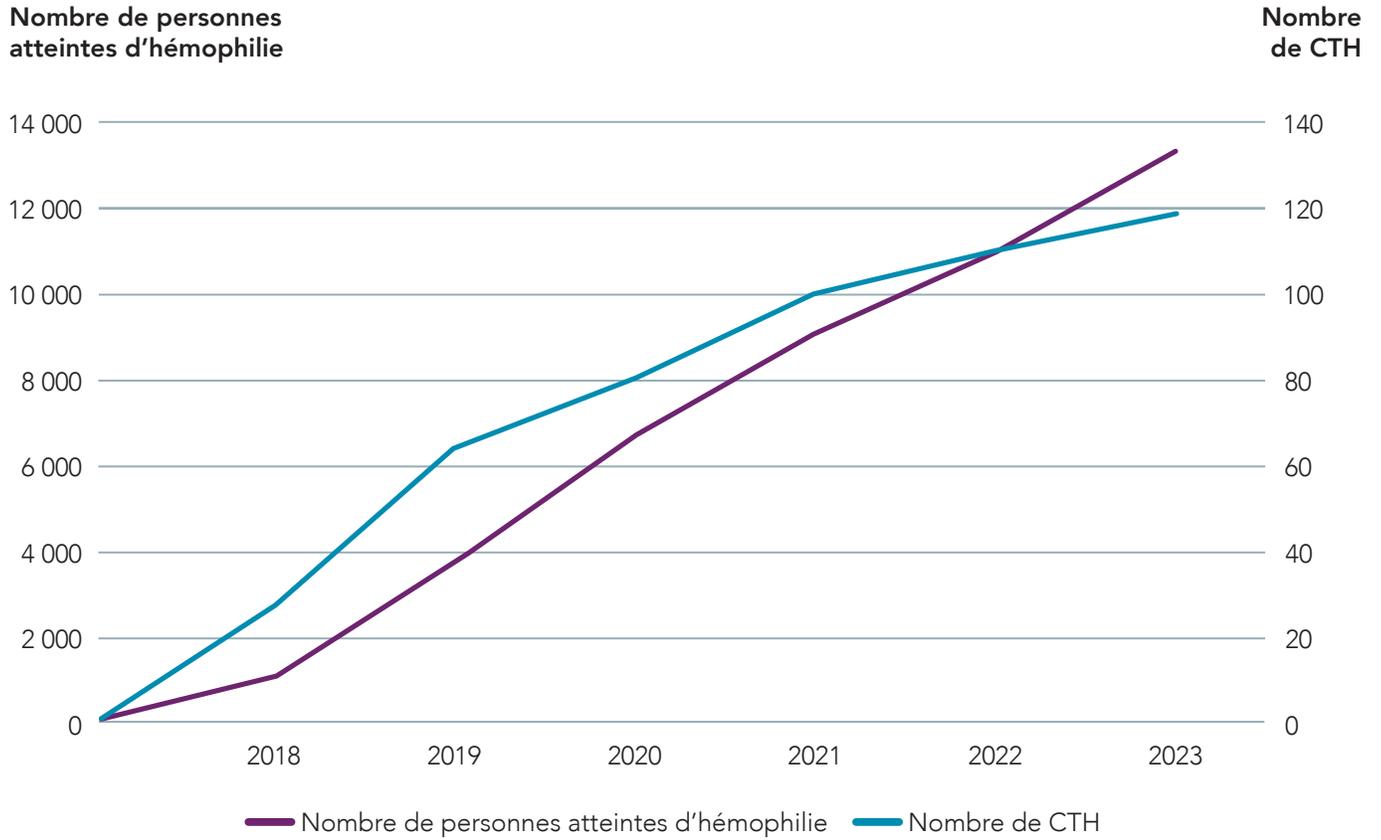
** Les CTH inclus sont ceux ayant reçu l'approbation d'un Comité de protection des personnes et qui ont enregistré au moins une personne atteinte d'hémophilie dans le RMTC au 31 décembre 2023.

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

§ RNB = Revenu national brut ; catégories du RNB basées sur celles de la classification 2023 du groupe de la Banque mondiale intitulée « Revenu national brut (RNB) par tête, méthode Atlas (dollars US courants) »³.

Figure 2

Personnes atteintes d'hémophilie et participation des CTH au RMTC Janvier 2018 – Décembre 2023

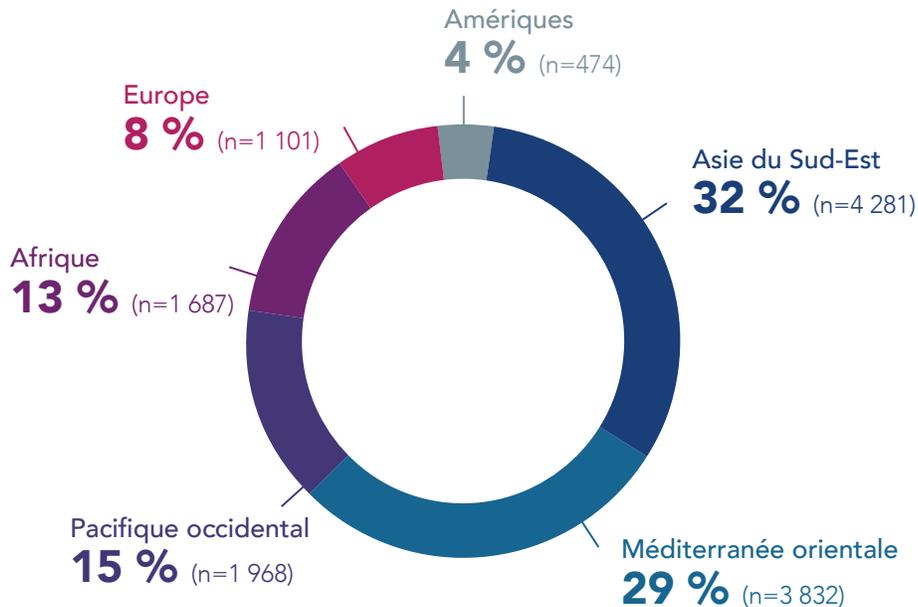


RÉPARTITION DES PERSONNES ATTEINTES D'HÉMOPHILIE

La classification régionale utilisée dans le RMTc est basée sur celle de l'OMS². La majorité des personnes atteintes d'hémophilie se situe en Asie du Sud-Est (Bangladesh, Inde, Indonésie, Népal, Thaïlande) et en Méditerranée orientale (Algérie, Égypte, Iran, Iraq, Maroc, Pakistan, Soudan, Syrie et Tunisie). Ces deux régions représentent respectivement 32 et 29 % des personnes atteintes d'hémophilie (cf. figure 3).

Figure 3

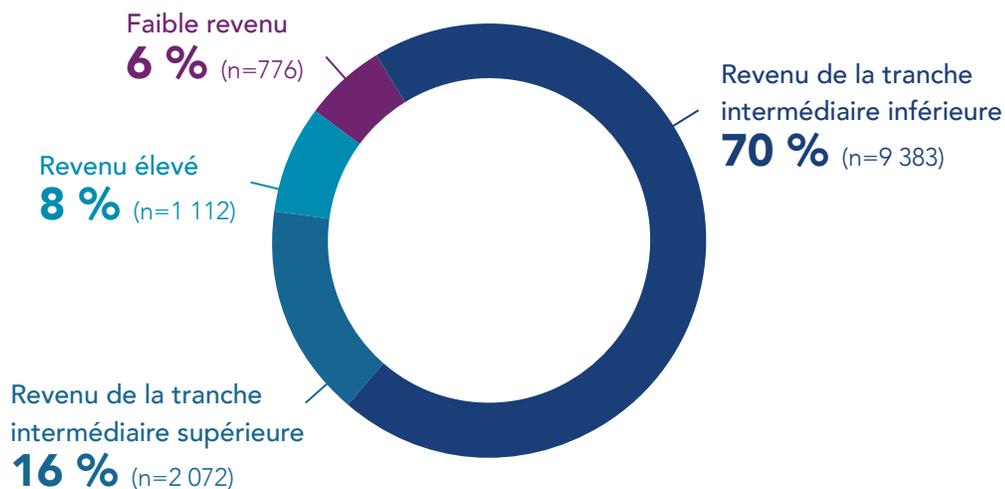
Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par région



La répartition des participant-es par revenu national brut (RNB) par tête³ montre que la majorité des personnes atteintes d'hémophilie sont issues de pays à revenu intermédiaire de la tranche inférieure (70 %) ; les pays à revenu intermédiaire de la tranche supérieure, à revenu élevé et à faible revenu arrivent en deuxième, troisième et quatrième position, avec respectivement 16, 8 et 6 % des personnes atteintes d'hémophilie (cf. figure 4).

Figure 4

Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par revenu national brut



DONNÉES DÉMOGRAPHIQUES SUR L'HÉMOPHILIE

TABLEAU 2

Résumé des données démographiques sur l'hémophilie

	Formes légères et modérées*	Formes sévères*
Type d'hémophilie**, n (%)		
Hémophilie A (n=11 245)	5 117 (46 %)	5 692 (51 %)
Hémophilie B (n=2 050)	1 068 (52 %)	919 (45 %)
Sexe, n (%)		
Homme (n=13 167)	6 074 (46 %)	6 574 (50 %)
Femme (n=174)	119 (68 %)	41 (24 %)
Âge des personnes atteintes d'hémophilie[§]		
Âge médian (IQR), en années	21 (12-34)	20 (11-32)
Population pédiatrique (<18 ans) (n=5 843)	2 575 (44 %)	2 960 (51 %)
Adultes (≥18 ans), (n=7 500)	3 619 (48 %)	3 656 (49 %)

IQR = écart interquartile.

* 533 personnes atteintes d'hémophilie présentaient une hémophilie de type inconnu et ont été exclues de la série, ce qui explique que le total n'atteigne pas 100 %.

** 48 personnes atteintes d'hémophilie présentaient une hémophilie de type inconnu et ont été exclues de la série, ce qui explique que le total n'atteigne pas 100 %.

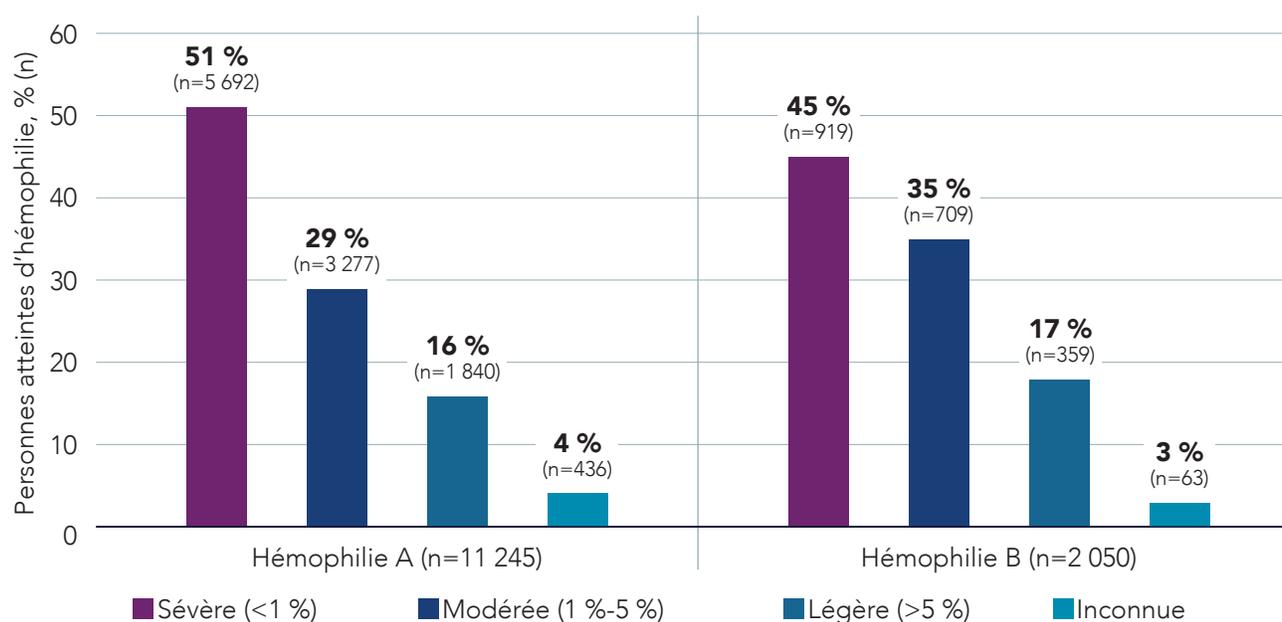
§ L'âge des personnes atteintes d'hémophilie a été calculé au 31 décembre 2023.

TYPE ET SÉVÉRITÉ DE L'HÉMOPHILIE

En tout, 99 % (n=13 167) des participants étaient des hommes, 84 % (n=11 245) étaient atteints d'hémophilie A et 15 % (n=1 428) d'hémophilie B (cf. tableau 2). La catégorie de sévérité la plus représentée est « sévère », à la fois pour l'hémophilie A et l'hémophilie B, pour lesquelles elle représente respectivement 51 et 45 % des personnes atteintes d'hémophilie (cf. figure 5).

Figure 5

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



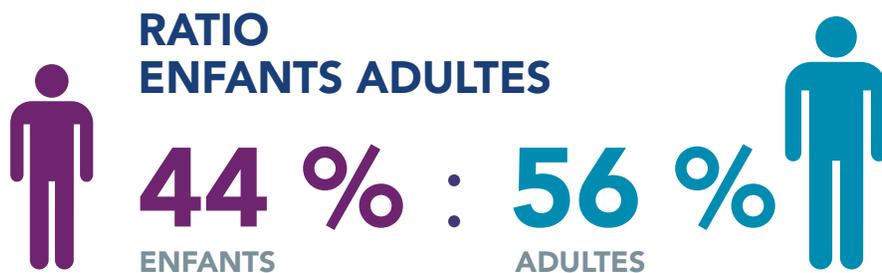
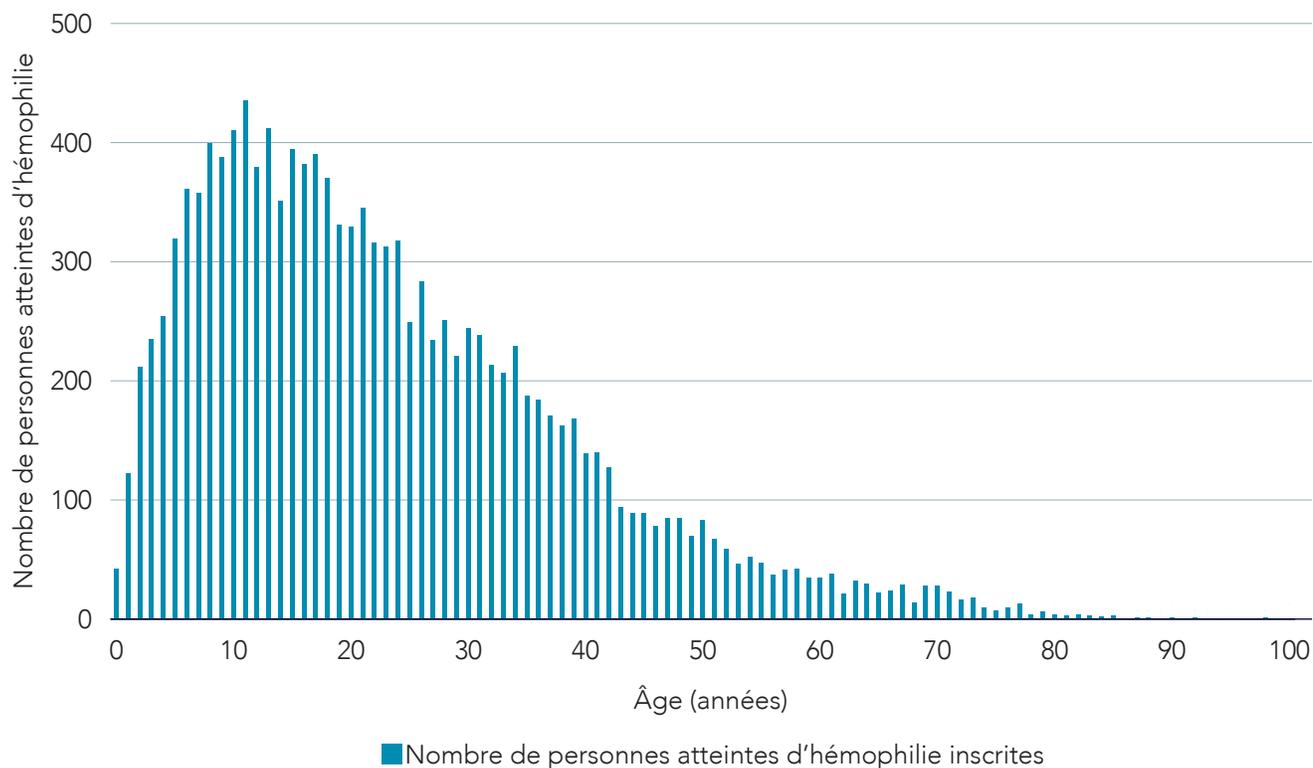
* 48 personnes atteintes d'hémophilie présentaient une hémophilie de type inconnu et ont été exclues de ce calcul.

ÂGE DES PERSONNES ATTEINTES D'HÉMOPHILIE INSCRITES AU RMTC

L'âge médian des participants est de 20 ans, et l'âge général s'étend de 1 mois à 98 ans (cf. figure 6). Les adultes (≥ 18 ans) constituent 56 % ($n=7\ 500$) et les enfants (< 18 ans) 44 % ($n=5\ 843$) de la totalité des personnes atteintes d'hémophilie.

Figure 6

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



DIAGNOSTIC ET ANTÉCÉDENTS CLINIQUES POUR L'HÉMOPHILIE

TABLEAU 3a

Résumé des diagnostics et antécédents cliniques

	Formes légères et modérées (n=6 194)	Formes sévères (n=6 616)
Âge médian (IQR) au moment du diagnostic, en mois	62 (16-172)	20 (7-88)
Âge au moment du diagnostic par tranche d'âge, n (%)		
0-11 mois	1 198 (19 %)	2 427 (37 %)
1-4 ans	1 803 (29 %)	2 044 (31 %)
5-17 ans	1 908 (31 %)	1 373 (21 %)
18-44 ans	1 006 (16 %)	644 (10 %)
45 ans et +	199 (3 %)	56 (<1 %)
Âge inconnu	80 (1 %)	72 (1 %)

TABLEAU 3b

Personnes atteintes d'hémophilie nouvellement diagnostiquées en 2023, n (%)	226 (4%)	149 (2%)
Âge médian (IQR) au premier saignement*, en mois	18 (6-60)	8 (5-18)
Âge médian (IQR) au premier saignement articulaire**, en mois	36 (12-74)	18 (10-47)

* Sur la base de 10 408 personnes atteintes d'hémophilie présentant des données sur le premier saignement.

** Sur la base de 8 418 personnes atteintes d'hémophilie présentant des données sur le premier saignement articulaire.

ÂGE AU MOMENT DU DIAGNOSTIC

L'âge médian (IQR) au diagnostic était de 37 mois (10-128) pour toutes les personnes atteintes d'hémophilie, de 62 mois (16-172) pour les personnes atteintes d'hémophilie présentant une forme légère ou modérée, et 20 mois (7-88) pour celles présentant une forme sévère (cf. tableau 3a). Pour les personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme légère ou modérée, l'âge médian du diagnostic par région s'étendait de 19 mois pour les Amériques à 84 mois pour le Pacifique occidental (cf. figure 7). Dans le cas des personnes présentant une forme sévère, l'âge le plus élevé au moment du diagnostic était en Afrique avec 45 mois, et le plus faible à nouveau pour les Amériques avec 8 mois (cf. figure 7). L'âge au diagnostic décroît à mesure que le RNB s'accroît : il passe de 44 mois dans les pays à revenu faible à 10 mois dans les pays à revenu élevé. Chez les personnes atteintes d'une forme légère ou modérée, l'âge le plus élevé au diagnostic était dans les pays à revenu intermédiaire de la tranche supérieure, avec 70 mois (cf. figure 8).

Il y a eu 270 personnes atteintes d'hémophilie nouvellement diagnostiquées en 2023, dont 149 atteintes d'une forme sévère.

19 % des personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme légère ou modérée et 37 % de celles atteintes d'une forme sévère ont été diagnostiquées avant leurs 12 mois. 48 % des personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme légère ou modérée et 67 % de celles présentant une forme sévère ont été diagnostiquées avant leurs 5 ans (cf. tableau 3a et figure 9).

.....

62 MOIS

ÂGE MÉDIAN AU
DIAGNOSTIC POUR LES
PERSONNES ATTEINTES
D'HÉMOPHILIE
PRÉSENTANT UNE FORME
LÉGÈRE OU MODÉRÉE

.....

20 MOIS

ÂGE MÉDIAN
AU DIAGNOSTIC POUR
LES PERSONNES
ATTEINTES D'HÉMOPHILIE
PRÉSENTANT UNE
FORME SÉVÈRE

.....

Figure 7

Âge au moment du diagnostic par région

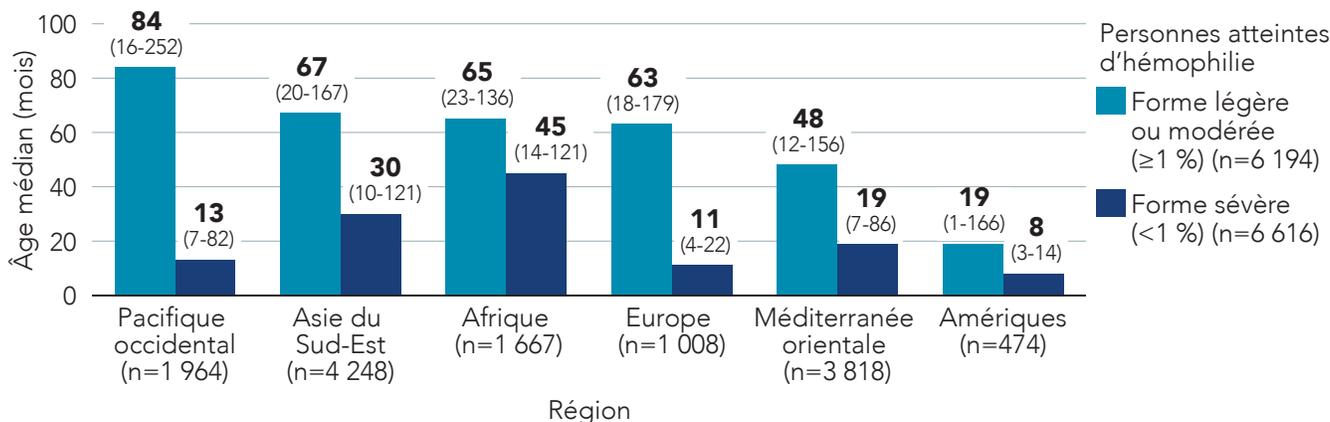


Figure 8

Âge au moment du diagnostic par revenu national brut

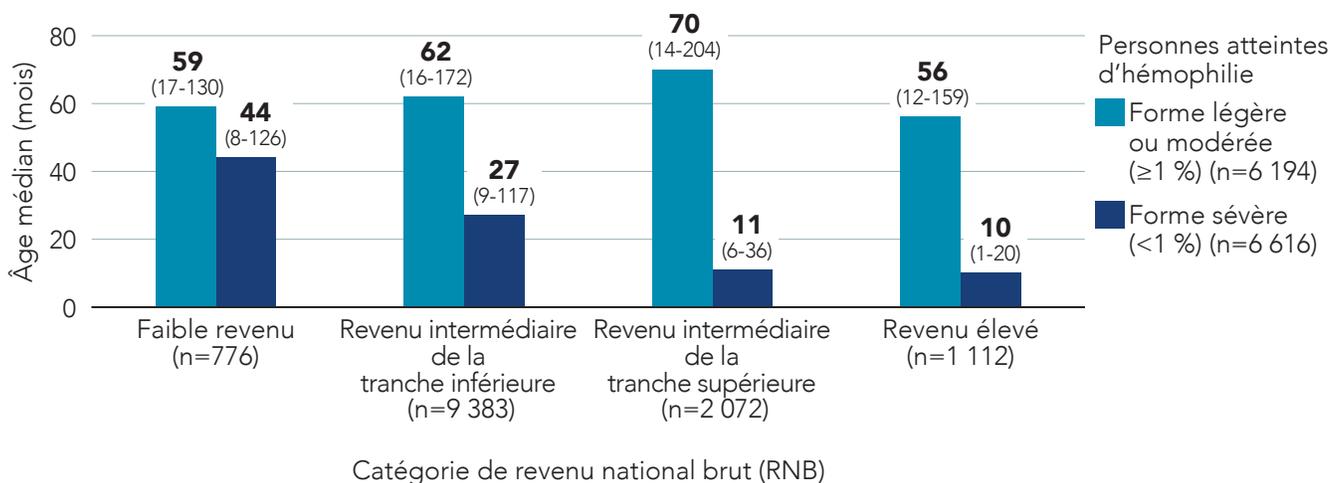
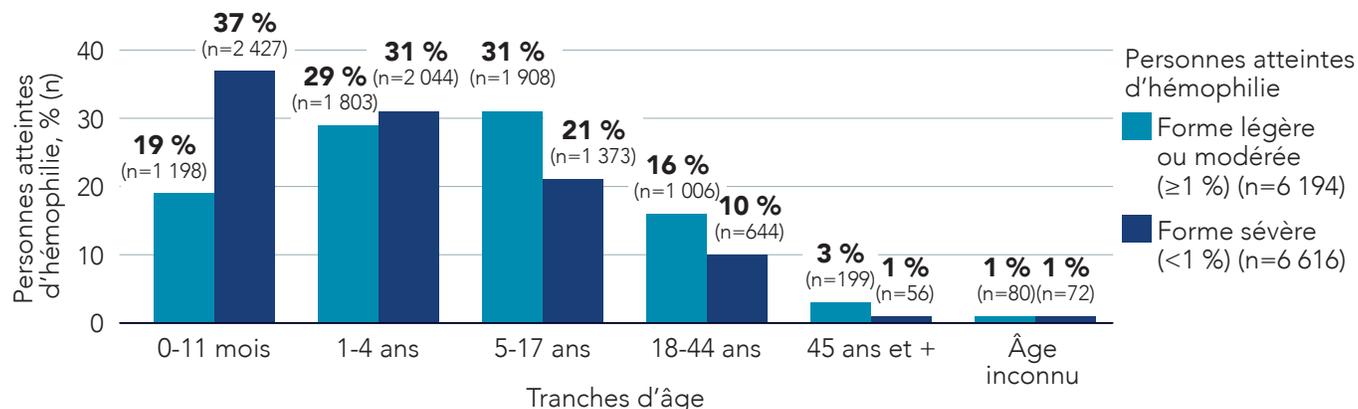


Figure 9

Répartition des personnes atteintes d'hémophilie par âge au moment du diagnostic



ÂGE AU PREMIER SAIGNEMENT ET AU PREMIER SAIGNEMENT ARTICULAIRE

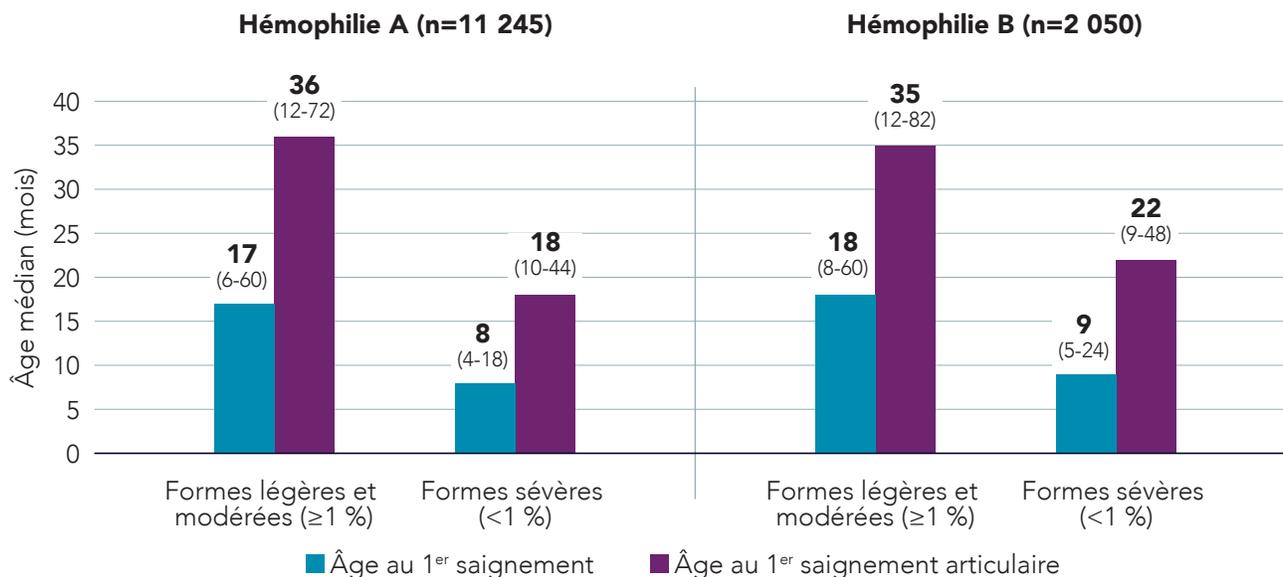
L'âge médian au premier saignement et au premier saignement articulaire est respectivement de 11 et 24 mois pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie.

Chez les personnes atteintes d'hémophilie A sévère, l'âge médian au premier saignement est de 8 mois, et de 18 mois au premier saignement articulaire (cf. figure 10).

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

Figure 10

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



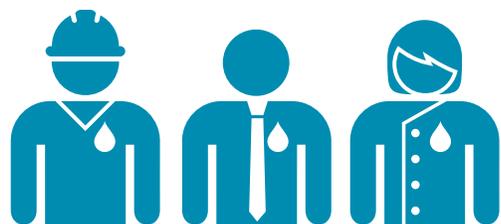
EMPLOI

Sur les 2 634 personnes atteintes d'hémophilie adultes (plus de 18 ans) ayant renseigné leur situation d'emploi, 36 % étaient employées à temps plein ou partiel. L'hémophilie affectait l'emploi de 20 % 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 (cf. tableau 4).

TABLEAU 4
Emploi

Situation d'emploi rapportée	Formes légères et modérées* (n=2 463)	Formes sévères* (n=2 634)
Emploi à temps plein ou partiel	980 (40 %)	952 (36 %)
Emploi à temps partiel à cause de l'hémophilie	187 (8 %)	232 (9 %)
En congé longue maladie à cause de l'hémophilie	23 (1 %)	24 (1 %)
Sans emploi à cause de l'hémophilie	131 (5 %)	231 (9 %)
Retraité-e à cause de l'hémophilie	24 (1 %)	19 (1 %)
Étudiant-e	804 (33 %)	818 (31 %)
Autre	314 (13 %)	358 (14 %)

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



20 % DES ADULTES
ATTEINT·ES D'HÉMOPHILIE
SÉVÈRE RAPPORTENT QUE
LEUR SITUATION D'EMPLOI EST
NÉGATIVEMENT AFFECTÉE
PAR L'HÉMOPHILIE

DONNÉES CLINIQUES SUR L'HÉMOPHILIE

LES DONNÉES CLINIQUES REPRÉSENTENT DES ÉVÉNEMENTS CLINIQUES QUI SE SONT PRODUITS EN 2023.

TABEAU 5
Résumé des saignements, 2023

	Formes légères et modérées* (n=5 721)	Formes sévères* (n=6 333)
Moyenne des saignements par patient·e (ET)	4,4 (7,0)	7,3 (11,5)
Patient·e n'ayant présenté aucun saignement en 2023, n (%)	436 (8 %)	624 (10 %)
Articulations cibles**, n (%)		
≥1	431 (8 %)	1 011 (16 %)
Total des saignements[§], n	7 943	20 295
Localisation du saignement, n (%)		
Articulation	5 877 (74 %)	16 434 (81 %)
Muscle	1 087 (14 %)	2 174 (11 %)
Appareil gastrointestinal	84 (1 %)	84 (<1 %)
Saignements menstruels abondants	37 (<1 %)	8 (<1 %)
Système nerveux central (SNC)	25 (<1 %)	27 (<1 %)
Cou/gorge	41 (1 %)	11 (<1 %)
Autre localisation	833 (10 %)	1 611 (8 %)

* 532 personnes atteintes d'hémophilie présentant une sévérité inconnue ont été exclues. Les données de 2023 pour 757 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 2023 ; on définit une articulation cible de la façon suivante : « 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 cible »⁴.

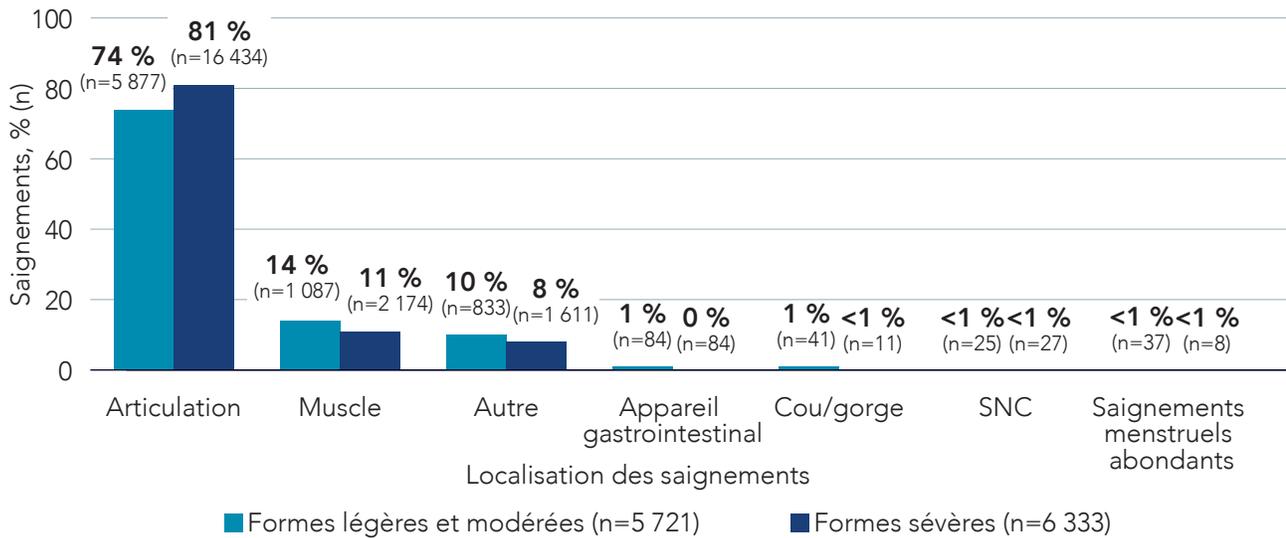
[§] Il est possible que les personnes atteintes d'hémophilie aient présenté des saignements en plusieurs endroits.

SAIGNEMENTS

En 2023, les personnes atteintes d'hémophilie ont rapporté un total de 29 071 saignements. Parmi eux, 22 937 (79 %) étaient des saignements articulaires, 3 427 (12 %) des saignements musculaires et 54 (<1%) des saignements du système nerveux central (SNC). Un total de 20 295 a été rapporté chez les personnes atteintes d'hémophilie sévère. La répartition des saignements par localisation pour les formes sévères était similaire à celle pour les formes légères et modérées (cf. figure 11).

Figure 11

Localisation des saignements, % (n)



TAUX ANNUALISÉS DE SAIGNEMENTS ET DE SAIGNEMENTS ARTICULAIRES

Le taux annualisé de saignements (TAS) et le taux annualisé de saignements articulaires (TASA) ont été calculés en annualisant respectivement le nombre de saignements et le nombre de saignements articulaires. Le TAS et le TASA ont été calculés sur la base du nombre total de saignements rapportés au cours des consultations en 2023, 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 visite de 2023 et la précédente visite était supérieur à 18 mois, le saignement rapporté pendant cet intervalle a été exclu de l'analyse. Seules des périodes d'observation supérieures à 30 jours ont été prises en compte. Dans les cas où le ou la patiente n'avait pas eu de consultation en 2023 ou bien où la période d'observation était inférieure à 30 jours, le TAS et le TASA n'ont pas été calculés. Les patient-es n'ayant présenté aucun saignement en 2023 ont été exclu-es des figures 14 et 15. On pose l'hypothèse que les patient-es n'ayant présenté aucun saignement sur un an reçoivent le traitement nécessaire à la prévention des saignements. Cela permet une analyse en profondeur des besoins en matière de soins lorsque l'on observe le TAS et le TASA par RNB ou région.

TAS

Le TAS médian (IQR) était de 4 (1-10) pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, avec des variations par RNB (cf. figure 12) et région (cf. figure 14). Les pays à revenu élevé et ceux à revenu intermédiaire de la tranche supérieure présentent un TAS de 0 (cf. figure 12). Les figures 16 et 18 présentent le TAS excluant les personnes atteintes d'hémophilie n'ayant présenté aucun saignement, par RNB et région ; le TAS pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie est de 6 (3-13), décroît à mesure que le revenu s'accroît et varie selon les régions.

TASA

Le TASA médian (IQR) était de 2 (0-8) pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, avec des variations par RNB (cf. figure 13) et par région (cf. figure 15). On observait dans les pays à faible revenu un TASA de 2 (0-8), contre 0 pour les pays à revenu élevé. Les figures 17 et 19 présentent le TASA excluant les personnes atteintes d'hémophilie n'ayant présenté aucun saignement, par RNB et région ; on observe un TASA de 6 (2-12), qui passe de 8 (4-15) à 2 (2-4) lorsqu'on compare les pays à revenu faible et les pays à revenu élevé ; il varie selon les régions.

Figure 12

TAS médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, par RNB

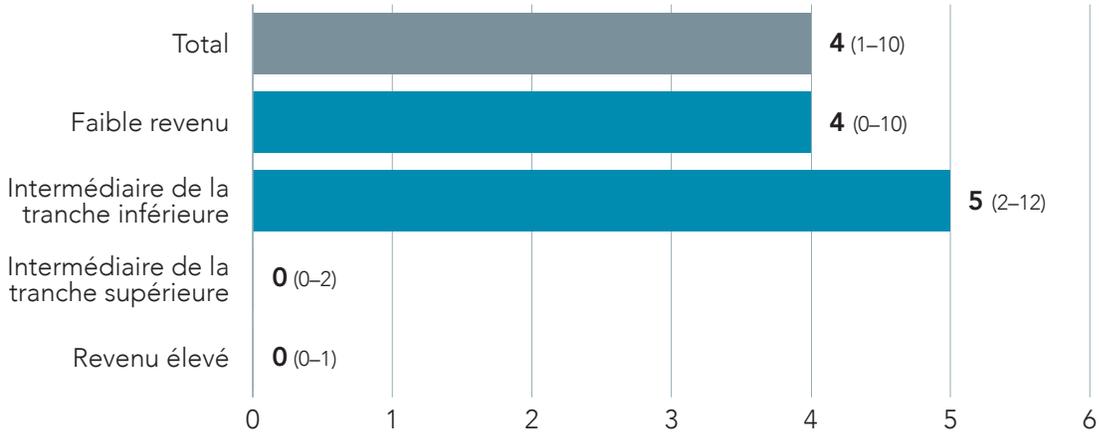


Figure 13

TASA médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, par RNB

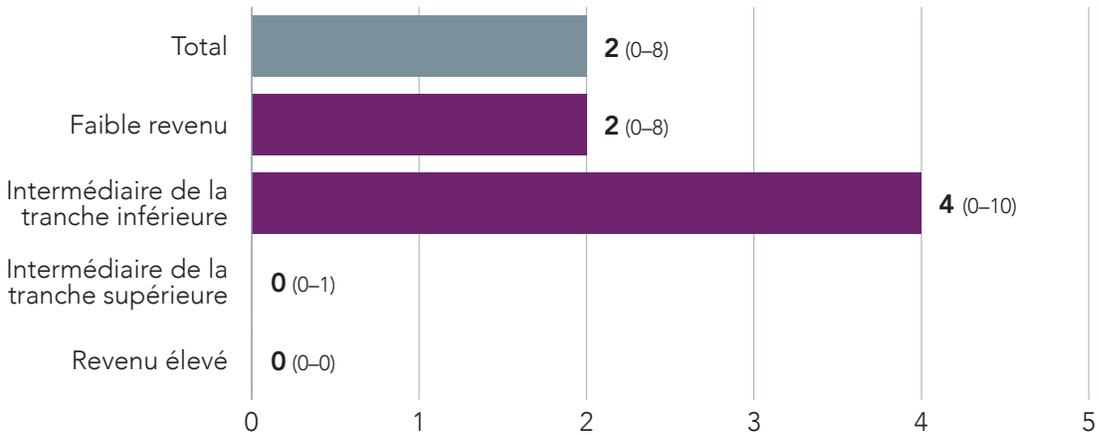


Figure 14

TAS médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, par région

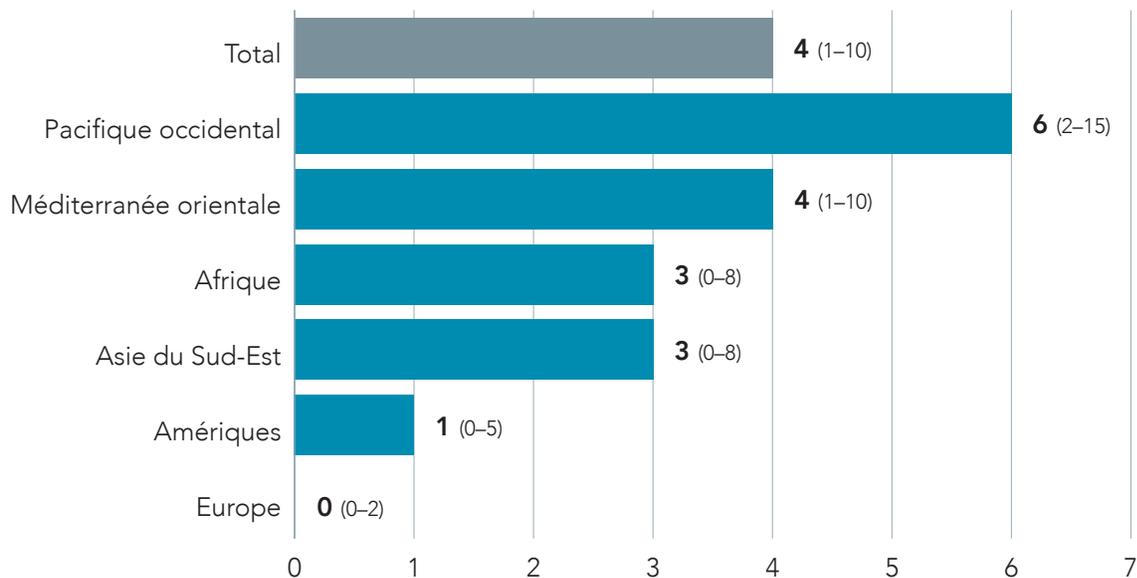


Figure 15

TASA médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, par région

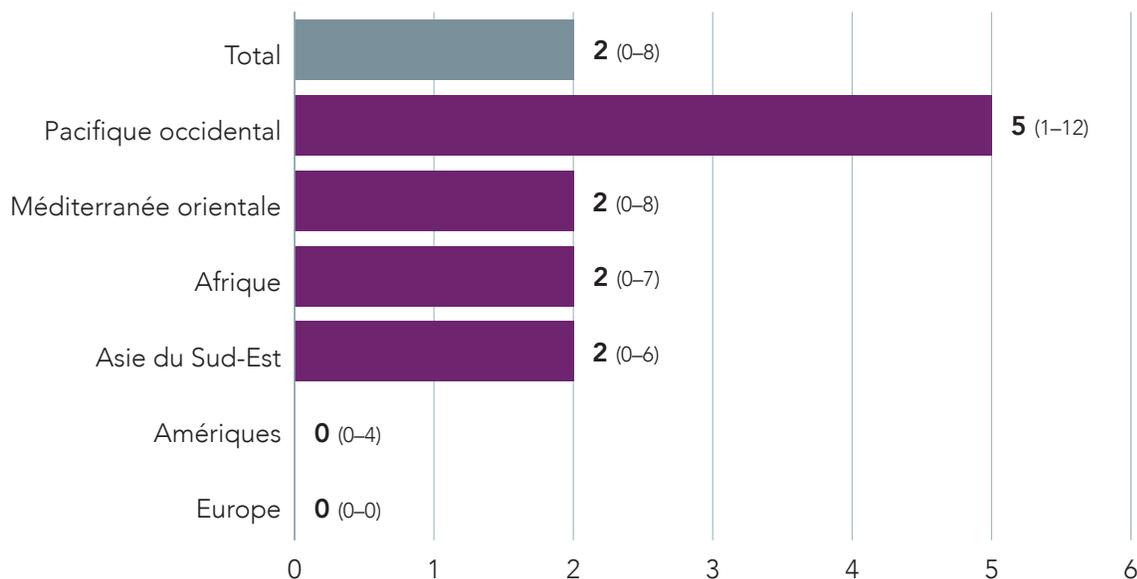


Figure 16

TAS médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, par RNB (exclusion des patient·es ne présentant aucun saignement)

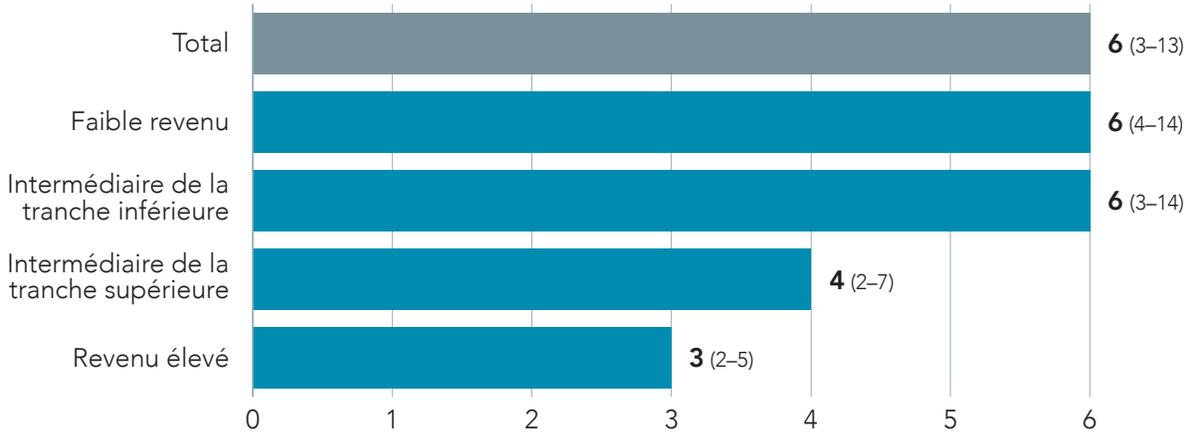


Figure 17

TASA médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, par RNB (exclusion des patient·es ne présentant aucun saignement)

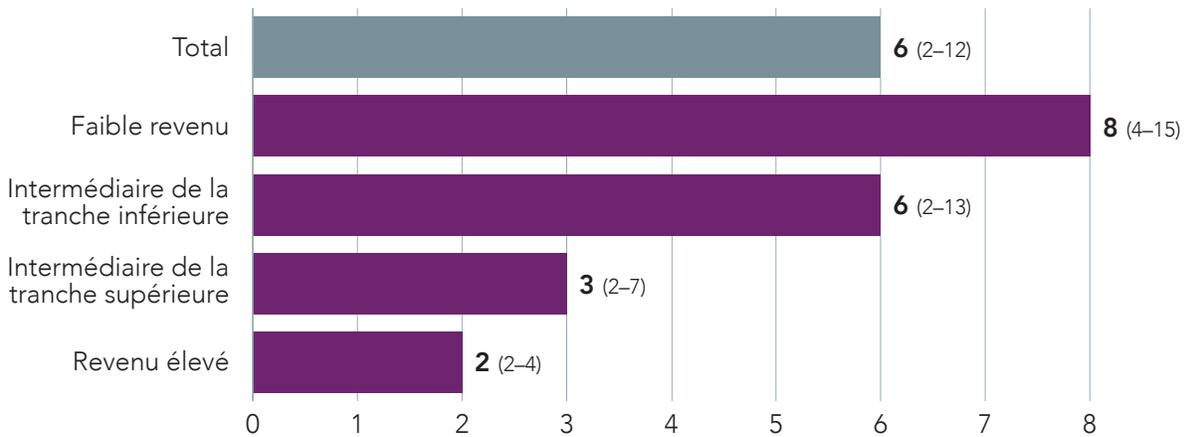


Figure 18

TAS médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, par région (exclusion des patient·es ne présentant aucun saignement)

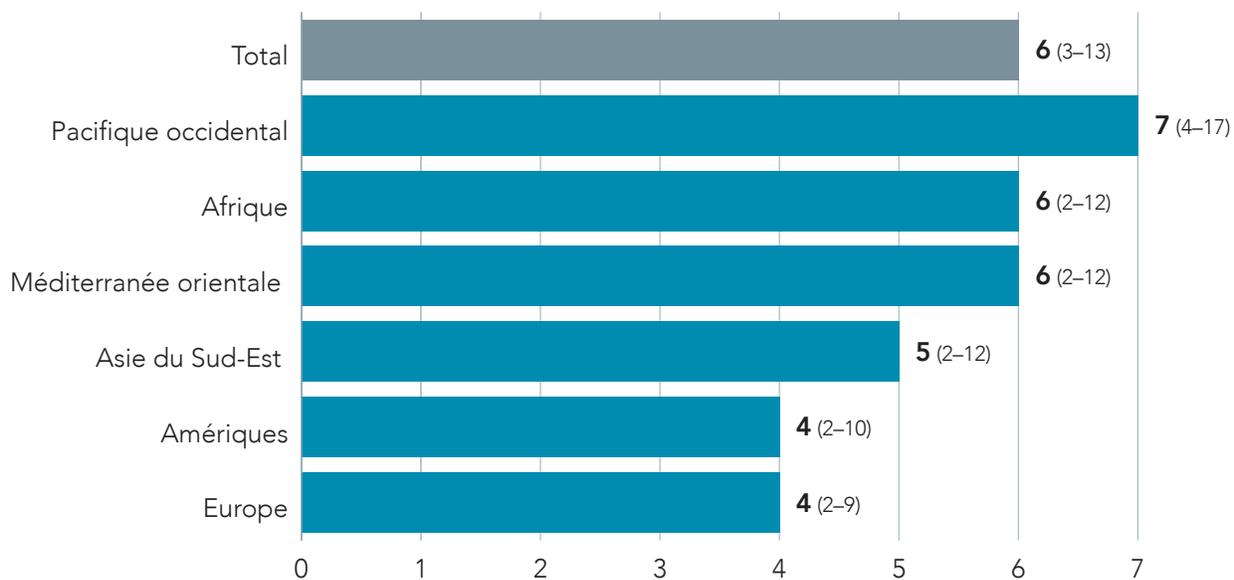
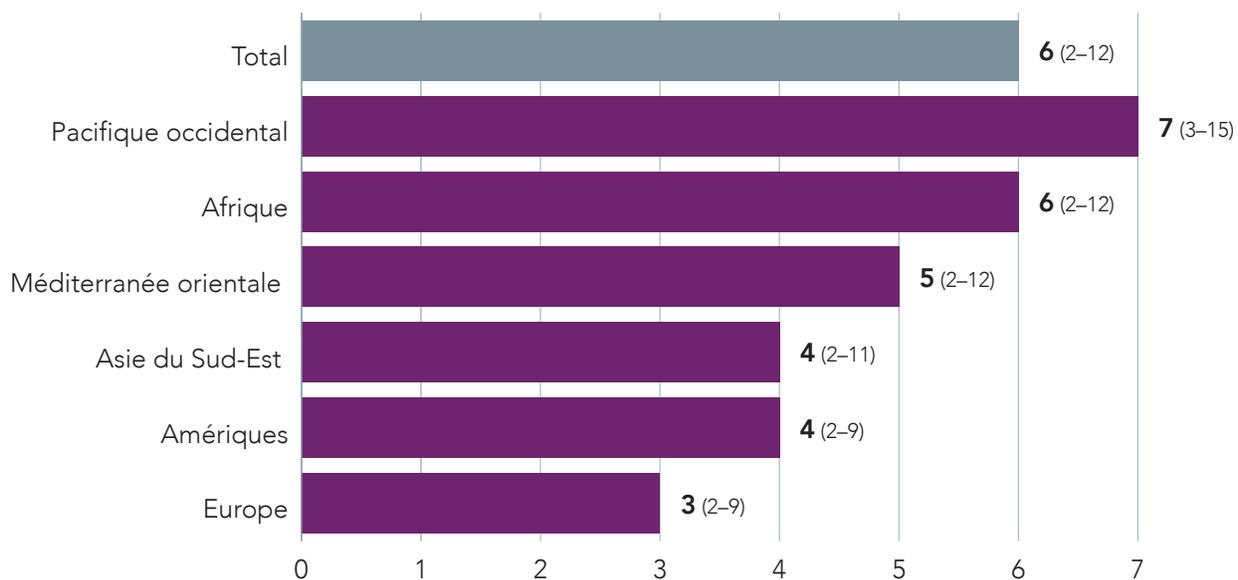


Figure 19

TASA médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie, par région (exclusion des patient·es ne présentant aucun saignement)



TAS ET TASA AVEC ET SANS PROPHYLAXIE

Le TAS médian pour les personnes atteintes d'hémophilie présentant une forme légère ou modérée était de 4, que ce soit avec ou sans traitement prophylactique en 2023. Dans le cas des personnes atteintes d'une forme sévère, le TAS médian est passé de 5 à 2 pour celles sous traitement prophylactique en 2023 (cf. figure 20). La figure 21 montre le TASA pour les personnes atteintes d'hémophilie avec et sans prophylaxie, ce qui illustre le même schéma que le TAS. Le TASA pour les personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme sévère passe de 4 à 1 avec un traitement prophylactique.

Figure 20

TAS médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie - avec et sans traitement prophylactique

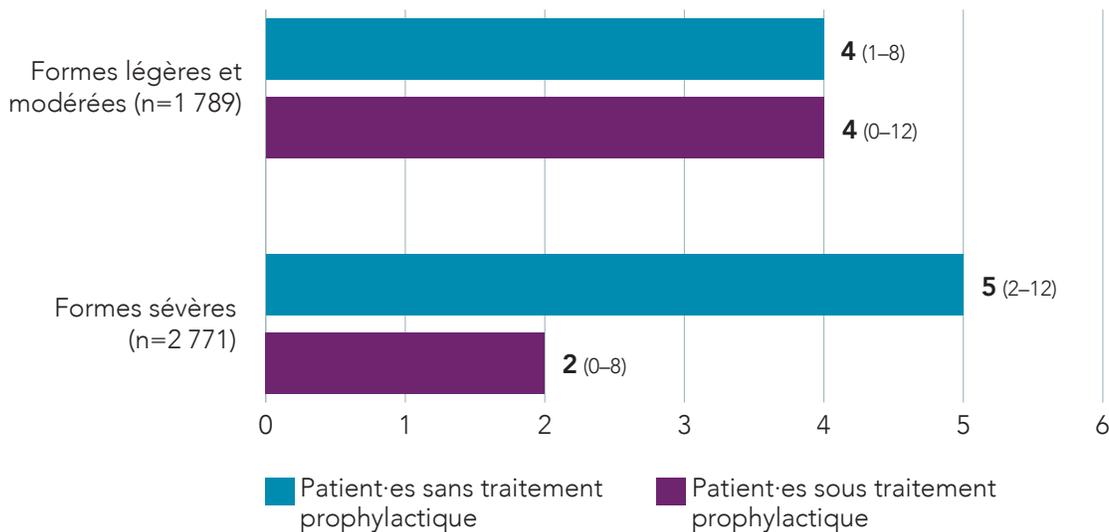
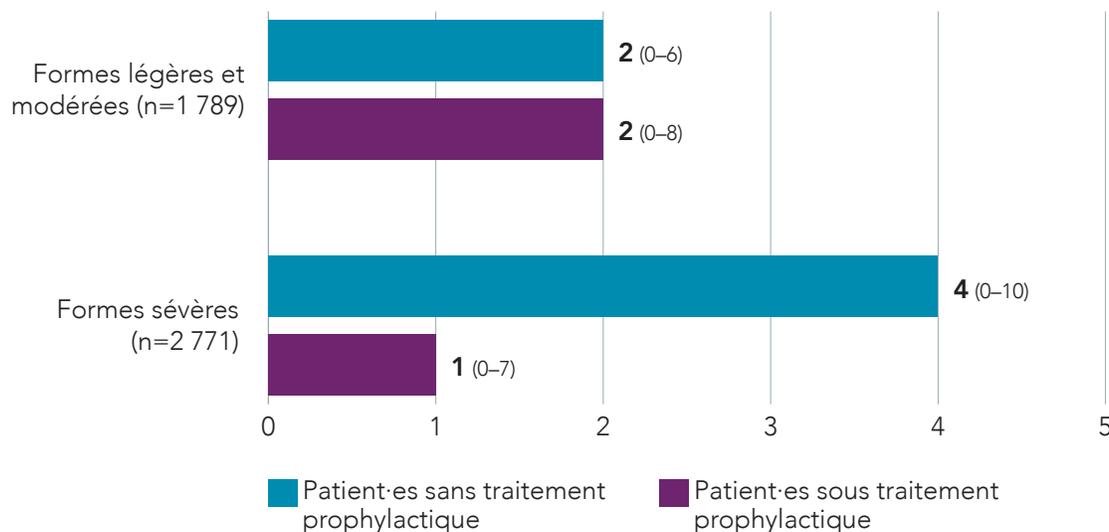


Figure 21

TASA médian pour l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie - avec et sans traitement prophylactique

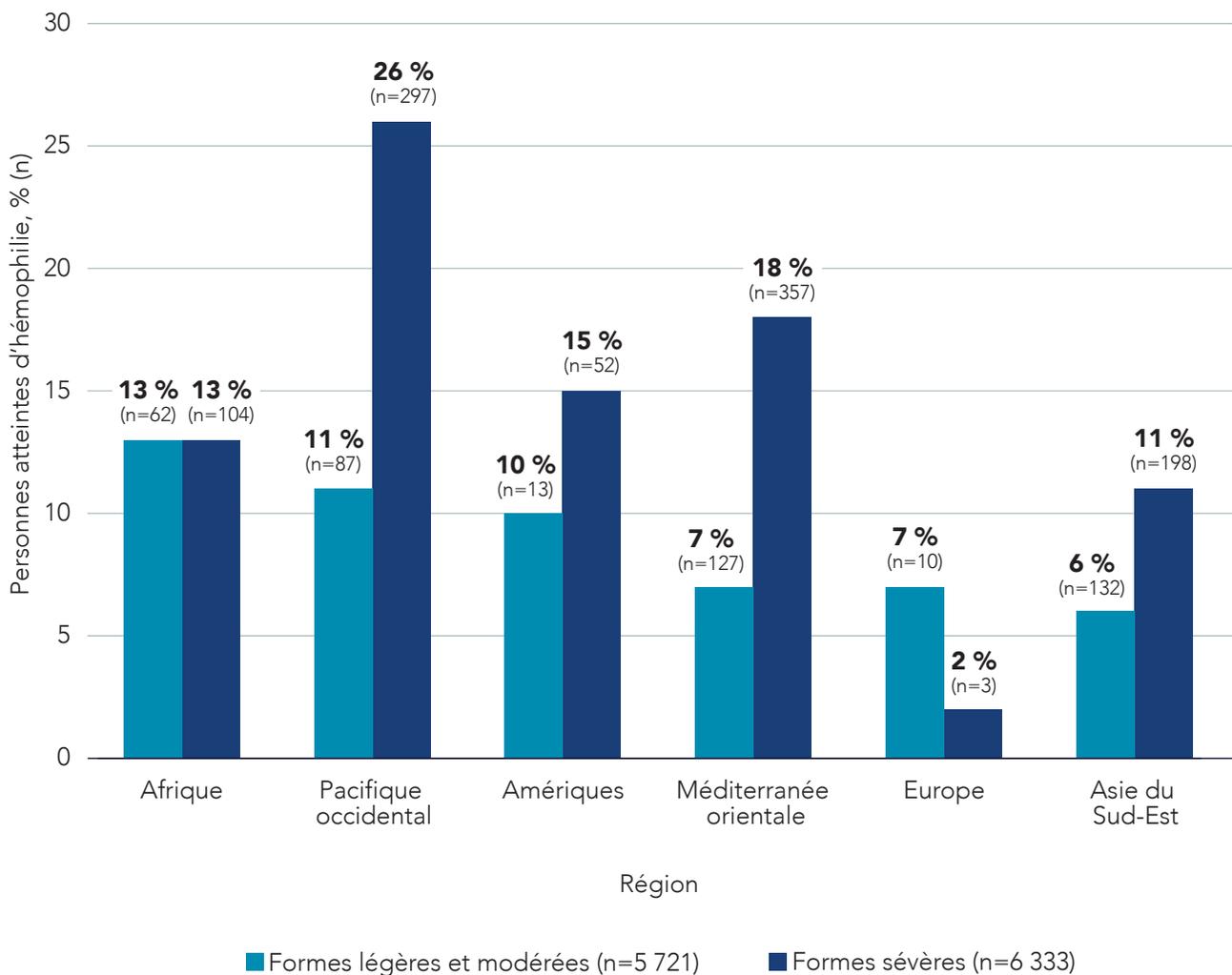


ARTICULATIONS CIBLES

8 % des personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme légère ou modérée, et 16 % de celles atteintes d'une forme sévère rapportent avoir au moins 1 articulation cible en 2023. La part des personnes atteintes d'hémophilie rapportant une articulation cible varie par région, s'étalant de 2 à 26 % pour les formes sévères (cf. figure 22).

Figure 22

personnes atteintes d'hémophilie présentant au moins 1 articulation cible, par région



INHIBITEURS

TABLEAU 6

Résumé des inhibiteurs, 2023

	Formes légères et modérées (n=5 721)*	Formes sévères (n=6 333)*
Patient-es avec antécédent d'inhibiteur**, n (%)	191 (3 %)	686 (11 %)
Test des inhibiteurs en 2023		
Testés†, n (%)	111 (2 %)	382 (6 %)
Résultat positif au test	14 (13 %)	81 (21 %)
Résultat négatif au test	97 (87 %)	301 (79 %)
Nouveau diagnostic d'inhibiteur††, n (%)	8 (<1 %)	24 (<1 %)
Patient-es avec suspicion d'inhibiteur, sans possibilité de test‡, n (%)	1 (<1 %)	2 (<1 %)

* Les données 2023 de 757 personnes atteintes d'hémophilie de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

** Nombre de patient-es uniques présentant un inhibiteur avant leur enregistrement dans le RMTC ou bien ayant effectué un test positif avant 2023.

† Nombre de patient-es uniques ayant effectué un test en 2023. Les méthodes de test sont les suivantes : Bethesda, Nijmegen-Bethesda, étude de mélange (aPTT).

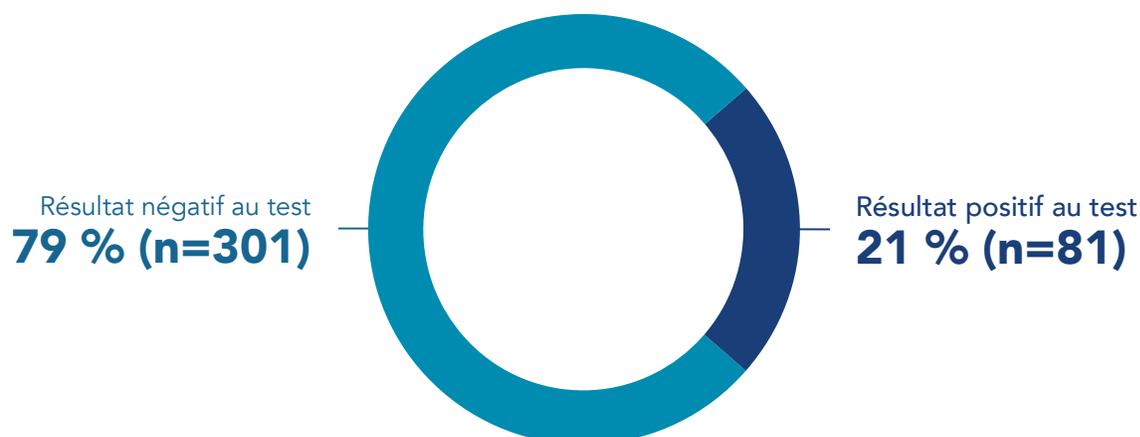
†† Nombre de patient-es uniques n'ayant jamais effectué de test d'inhibiteur, ayant été testés en 2023 avec un résultat positif.

‡ Comprend toutes les personnes atteintes d'hémophilie ayant effectué une consultation de référence en 2023.

Les données sur les tests d'inhibiteur sont recueillies au moment de la consultation de référence (qui couvre les 6 mois précédents) et lors de chacune des consultations de suivi. Dans ce rapport, le nombre de personnes atteintes d'hémophilie présentant un résultat positif au test d'inhibiteur est défini comme l'ensemble des personnes atteintes d'hémophilie ayant eu au moins un test d'inhibiteur positif en 2023. En 2023, 111 personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme légère ou modérée et 382 atteintes d'une forme sévère ont été testées pour recherche d'inhibiteurs. Respectivement 14 (13 %) et 81 (21 %) d'entre elles ont obtenu un résultat positif. Un total de 33 personnes atteintes d'hémophilie (soit moins de 1 %) ont reçu un nouveau diagnostic d'inhibiteur – elles n'avaient alors pas d'antécédent d'inhibiteurs ni rapporté de test positif précédent – et moins de 1 % d'entre elles étaient atteintes d'une forme sévère (cf. tableau 6 et figure 23).

Figure 23

Personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme sévère testées pour une recherche d'inhibiteur 2023 (n=382)



HOSPITALISATION

TABLEAU 7a

Résumé des hospitalisations liées à l'hémophilie, 2023

	Formes légères et modérées (n=5 721)*	Formes sévères (n=6 333)*
Patient-es hospitalisé-es**, n (%)	358 (6 %)	659 (10 %)
Total des hospitalisations†, n	1 108	3 189
Nombre médian (IQR) de jours d'hospitalisation	8 (4-18)	14 (6-30)
Nombre médian (IQR) d'hospitalisations par patient-e§	1 (1-4)	3 (1-7)

TABLEAU 7b

	Formes légères et modérées (n=5 721)*	Formes sévères (n=6 333)*
Motif de l'hospitalisation, n (%)		
Saignement articulaire	712 (12 %)	2 391 (38 %)
Autre saignement musculaire	162 (3 %)	417 (7 %)
Autre saignement	110 (2 %)	234 (4 %)
Saignement des tissus mous	25 (<1 %)	45 (<1 %)
Saignement gastrointestinal	17 (<1 %)	25 (<1 %)
Intervention chirurgicale	15 (<1 %)	22 (<1 %)
Saignement intracrânien	13 (<1 %)	19 (<1 %)
Épistaxis	5 (<1 %)	1 (<1 %)
Saignement musculaire du psoas	4 (<1 %)	9 (<1 %)
Hématome du cou	1 (<1 %)	1 (<1 %)
Autre	76 (1 %)	186 (3 %)

* 532 personnes atteintes d'hémophilie présentant une sévérité inconnue ont été exclues. Les données 2023 de 757 personnes atteintes d'hémophilie de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

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

§ Uniquement basé sur les patient-es hospitalisé-es.

† On définit l'hospitalisation comme un séjour comprenant au moins une nuit à l'hôpital.

En 2023, 358 (6 %) personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme légère ou modérée et 659 (10 %) atteintes d'une forme sévère ont connu un total de 4 329 hospitalisations liées à l'hémophilie. Le séjour médian (IQR) pour les formes légères et modérées et les formes sévères était de 8 et 14 jours respectivement (cf. tableau 9a). Le motif d'hospitalisation le plus fréquent était le saignement artériel, à la fois pour les patient-es atteint-es d'hémophilie A et les patient-es atteint-es d'hémophilie B (respectivement 70 et 63 %, cf. figures 24 et 25). Au total, 34 hospitalisations ont eu lieu pour un saignement intracrânien, dont 24 (1 %) pour des patient-es atteint-es d'hémophilie A et 10 (<1 %) chez des patient-es atteint-es d'hémophilie B. Les personnes atteintes d'hémophilie dont le type d'hémophilie est indéterminé mais ont été hospitalisées ne sont pas incluses dans les graphiques ci-dessous (cf. figures 24 et 25).

Figure 24

Motif d'hospitalisation des patient-es atteint-es d'hémophilie A (n=3 693)

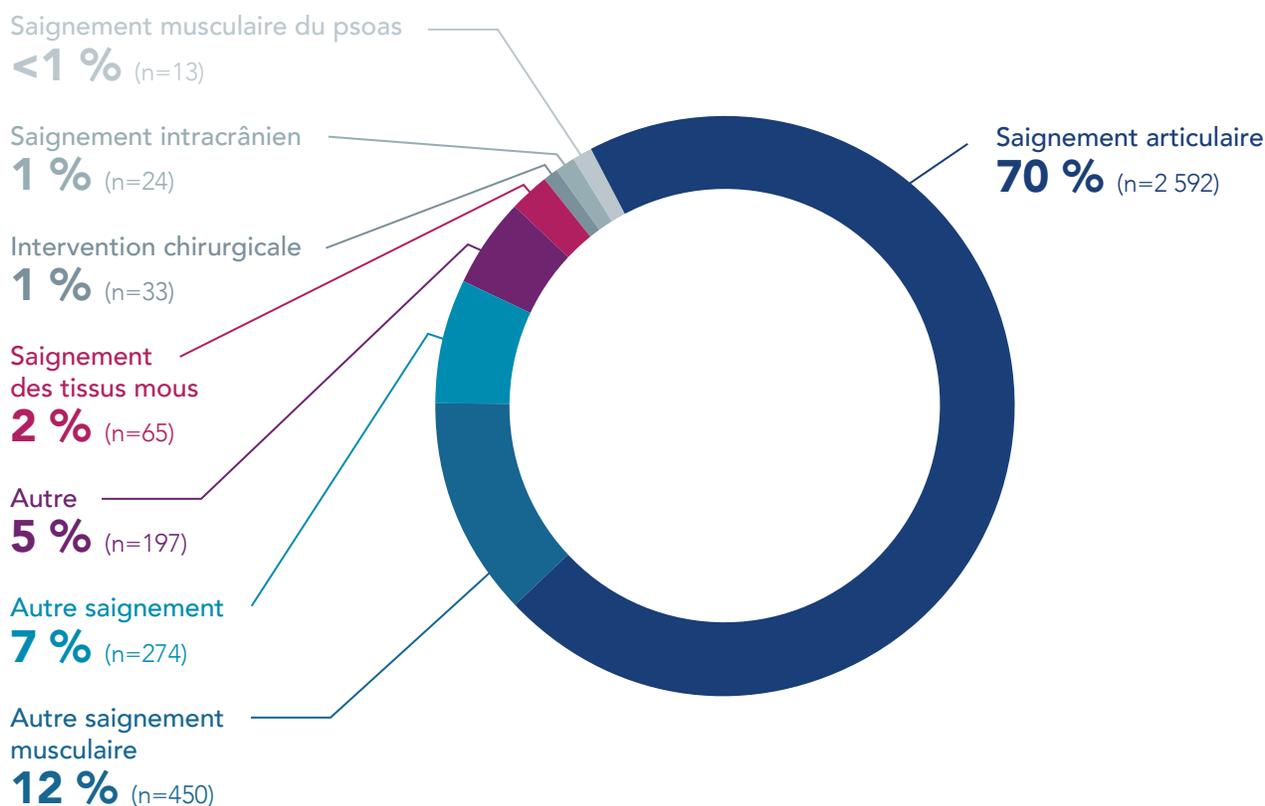


Figure 25

Motif d'hospitalisation des patient·es atteint·es d'hémophilie B (n=835)

Saignement musculaire du psoas

<1 % (n=2)

Saignement intracrânien

1 % (n=10)

Saignement gastrointestinal

1 % (n=9)

Saignement des tissus mous

2 % (n=15)

Autre

8 % (n=66)

Autre saignement

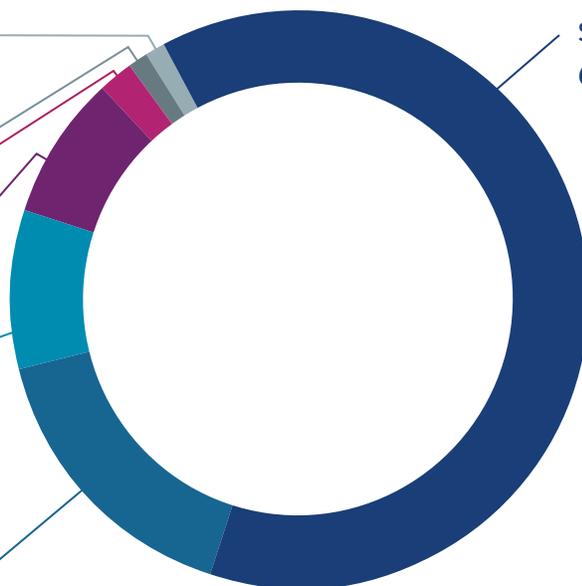
9 % (n=72)

Autre saignement musculaire

16 % (n=130)

Saignement articulaire

63 % (n=527)



TRAITEMENT

TABLEAU 8

Résumé des traitements, 2023*

	Formes légères et modérées (n=5 721)*	Formes sévères (n=6 333)*
Ayant reçu au moins 1 traitement prophylactique en 2023, n (%)**	446 (8 %)	1 775 (28 %)
Hémophilie A, n (%)	360 (8 %)	1 574 (29 %)
FVIII, demi-vie standard	200 (56 %)	979 (62 %)
FVIII, demi-vie prolongée	62 (17 %)	207 (13 %)
Agent de contournement	1 (<1 %)	9 (<1 %)
Produit non substitutif	128 (36 %)	487 (31 %)
Autre	10 (3 %)	47 (3 %)
Hémophilie B, n (%)	86 (9 %)	201 (23 %)
FIX, demi-vie standard	36 (42 %)	104 (52 %)
FIX, demi-vie prolongée	39 (45 %)	80 (40 %)
Agent de contournement	0 (0 %)	3 (2 %)
Produit non substitutif	0 (0 %)	5 (3 %)
Autre	20 (23 %)	31 (15 %)

* Les données 2023 de 757 personnes atteintes d'hémophilie de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication. 48 personnes atteintes d'un type d'hémophilie inconnu et 532 personnes atteintes d'hémophilie présentant une sévérité inconnue ont été exclus de cette analyse.

** Nombre de personnes atteintes d'hémophilie uniques ayant reçu un traitement prophylactique en 2023. Il comprend également les patient-es ayant commencé un traitement prophylactique ou étant sous traitement prophylactique en cours en 2023. Les patient-es peuvent recevoir des traitements appartenant à plusieurs catégories.



UTILISATION DE LA PROPHYLAXIE

Un total de 2 278 (18 %) personnes atteintes d'hémophilie ont reçu un traitement prophylactique en 2023. 28 % des personnes atteintes d'hémophilie atteintes d'une forme sévère ont reçu un traitement prophylactique en 2023 ; parmi elles, on comptait 89 % de cas d'hémophilie A et 11 % de cas d'hémophilie B (cf. tableau 8).

Figure 26

Part des personnes atteintes d'hémophilie ayant reçu un traitement prophylactique en 2023, par région*

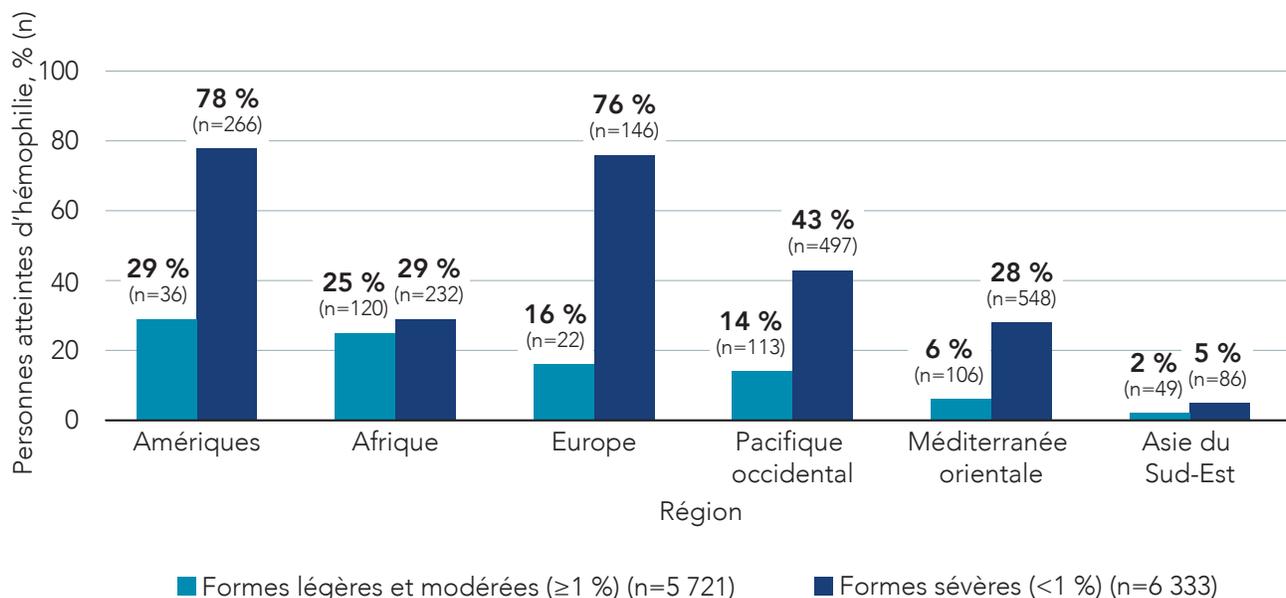
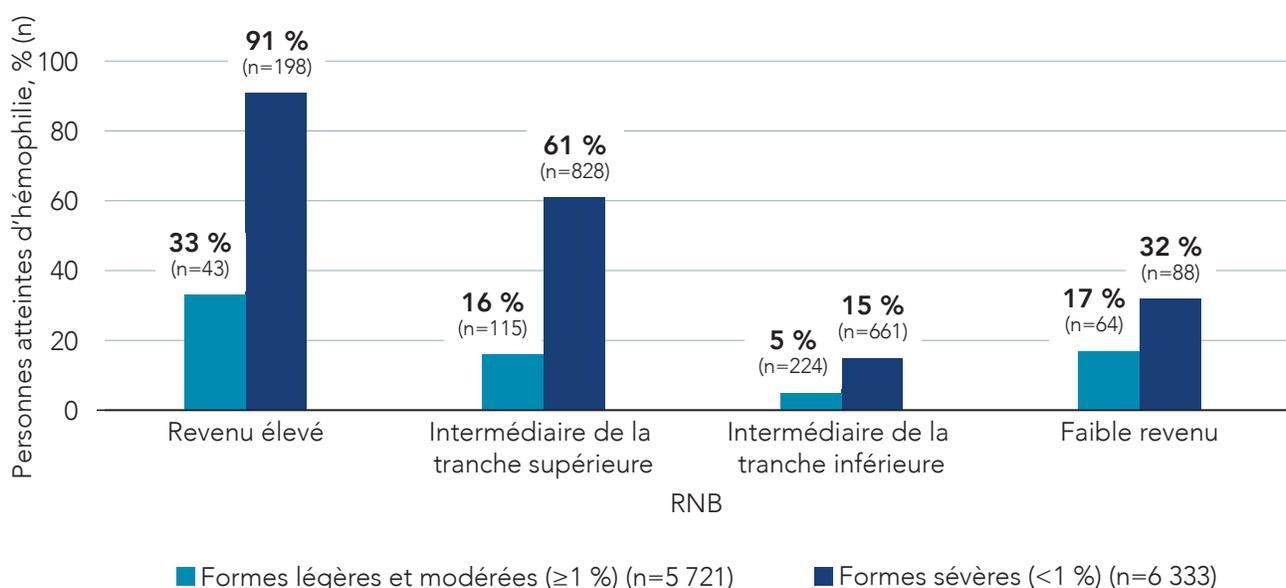


Figure 27

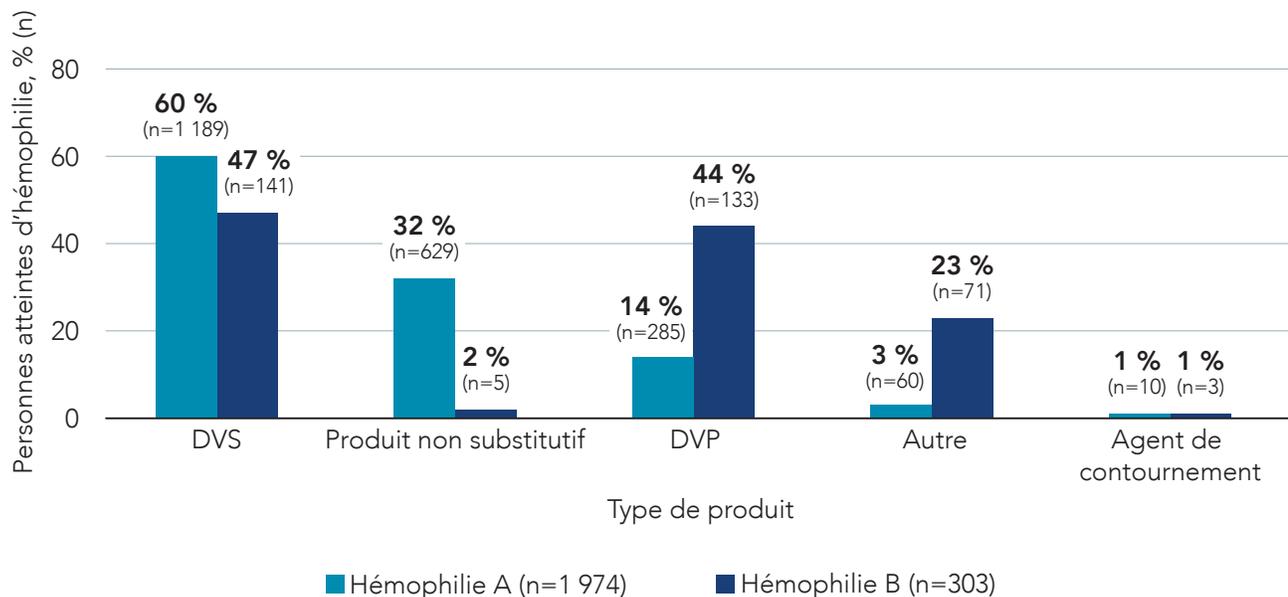
Part des personnes atteintes d'hémophilie ayant reçu un traitement prophylactique en 2023, par RNB



Chez les personnes atteintes d'hémophilie traitées par prophylaxie, les concentrés de facteur de coagulation à demi-vie standard ont été le type de traitement le plus fréquent en 2023 – respectivement 63 % des personnes atteintes d'hémophilie A et 52 % des personnes atteintes d'hémophilie B sous prophylaxie. 28 % des personnes atteintes d'hémophilie A ont reçu des traitements par produits non substitutifs (cf. tableau 8 et figure 28).

Figure 28

Répartition des types de produits chez les personnes atteintes d'hémophilie sous traitement prophylactique





DONNÉES CONTENUES DANS LE RAPPORT 2023 SUR LE RMTC **MALADIE DE WILLEBRAND**

45

CTH
PARTICIPANTS

22

PAYS
REPRÉSENTÉS

999

PATIENT·ES
INSCRIT·ES

TABLEAU 9

Résumé des participations (Maladie de Willebrand)

Pays, n	22
Centres de traitement de l'hémophilie**, n	45
Personnes atteintes de la MW, n	999
Répartition des personnes atteintes de la maladie de Willebrand par région†, n (%)	
Afrique	22 (2 %)
Amériques	2 (<1 %)
Méditerranée orientale	649 (65 %)
Europe	274 (27 %)
Asie du Sud-Est	15 (2 %)
Pacifique occidental	37 (4 %)
Répartition des personnes atteintes de la maladie de Willebrand par RNB§, n (%)	
Revenu élevé	274 (27 %)
Revenu intermédiaire de la tranche supérieure	41 (4 %)
Revenu intermédiaire de la tranche inférieure	674 (68 %)
Faible revenu	10 (1 %)

* Les CTH inclus sont ceux ayant reçu l'approbation d'un Comité de protection des personnes et qui ont enregistré au moins une personnes atteintes de la maladie de Willebrand dans le RMTC au 31 décembre 2023.

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

§ RNB = Revenu national brut ; catégories du RNB basées sur celles de la classification 2023 du groupe de la Banque mondiale intitulée « Revenu national brut (RNB) par tête, méthode Atlas (dollars US courants) »³.

RÉPARTITION DES PERSONNES ATTEINTES DE LA MALADIE DE WILLEBRAND

La classification régionale utilisée dans le RMTc est basée sur celle de l'OMS¹. La majorité des personnes atteintes de la maladie de Willebrand se situe en Méditerranée orientale (Iran, Iraqe, Maroc, Makistan, Soudan, Syrie et Tunisie) et en Europe (République tchèque, Portugal) ; ces deux régions représentent respectivement 65 et 27 % des personnes atteintes de la maladie de Willebrand (cf. figure 29).

Figure 29

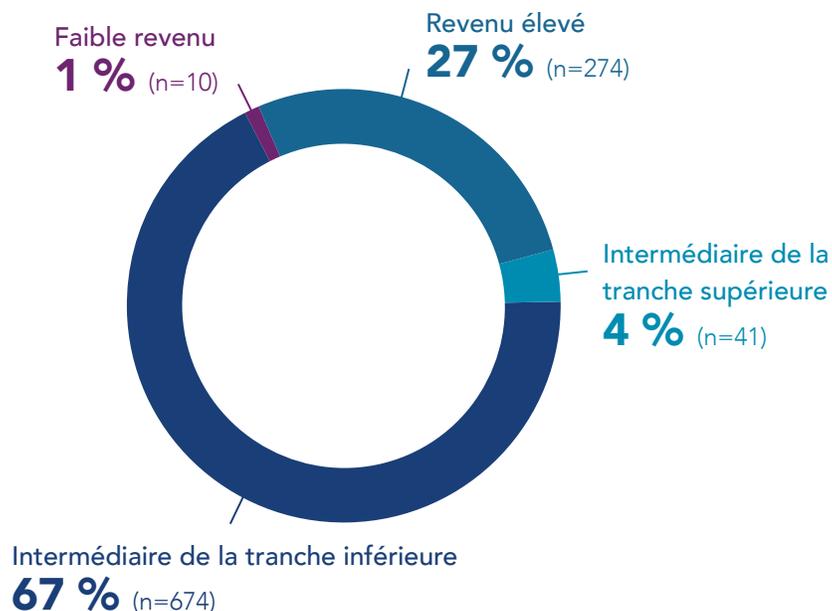
Répartition des personnes atteintes de la maladie de Willebrand par région



La répartition des participant·es par revenu national brut (RNB) par tête² montre que la majorité des personnes atteintes de la maladie de Willebrand sont issues de pays à revenu intermédiaire de la tranche inférieure (67 %) ; les pays à revenu élevé, revenu intermédiaire de la tranche supérieure et revenu faible représentent quant à eux respectivement 27, 4 et 1 % et (cf. figure 30).

Figure 30

Répartition des personnes atteintes de la maladie de Willebrand par RNB



DONNÉES DÉMOGRAPHIQUES POUR LA MW

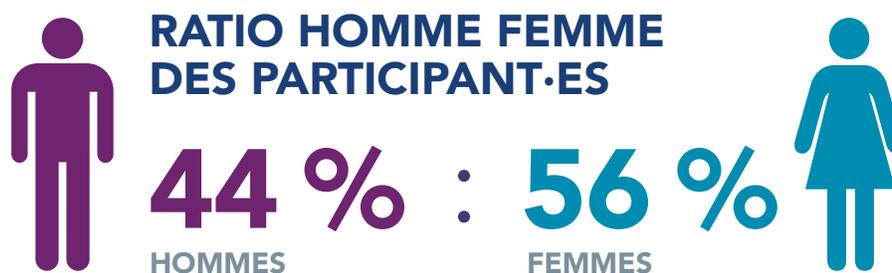
TABLEAU 10

Résumé des données démographiques pour la MW

	MW (n=999)
Sexe, n (%)	
Homme	439 (44 %)
Femme	560 (56 %)
Âge des personnes atteintes de la maladie de Willebrand[§]	
Âge médian (IQR), en années	21 (12-36)
Population pédiatrique (<18 ans), n (%)	432 (43 %)
Adultes (>18 ans), n (%)	567 (57 %)
Type de MW, n (%)	
Type 1	224 (22 %)
Type 2	189 (19 %)
Type 3	547 (55 %)
MW de type plaquettaire	1 (<1 %)
Inconnu	38 (4 %)

IQR = écart interquartile

[§] L'âge a été calculé au 31 décembre 2023.

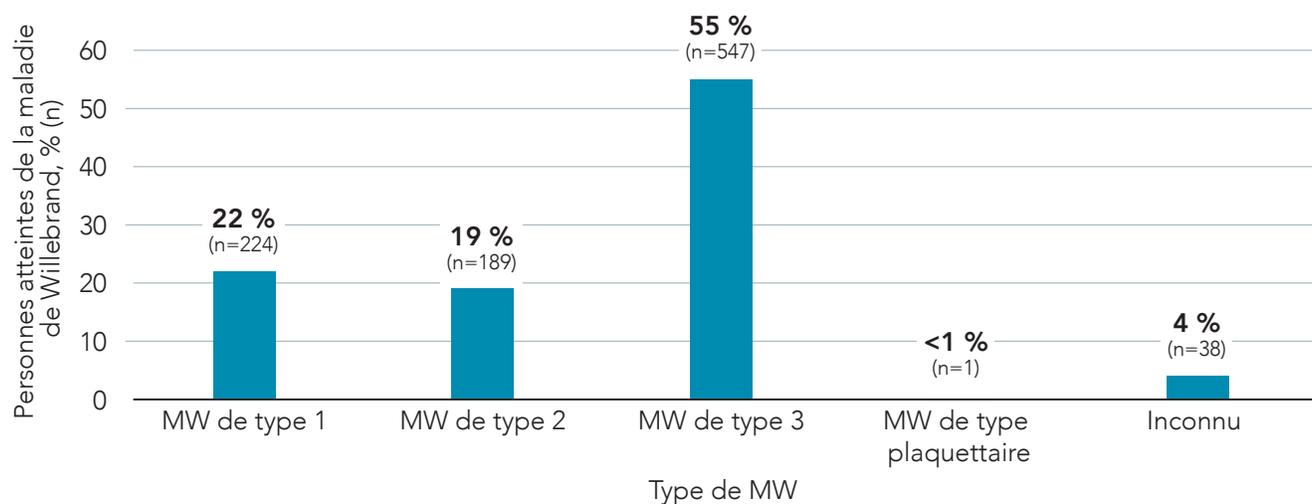


TYPE DE MW

En tout, 56 % (n=560) des participant·es étaient des femmes et 44 % (n=439) des hommes (cf. tableau 10).
55 % des patient·es présentaient une MW de type 3, contre 22 % et 19 % respectivement pour les types 1 et 2 (cf. tableau 10 et figure 31).

Figure 31

Type de MW



DONNÉES CLINIQUES SUR LA MW

LES DONNÉES CLINIQUES DE LA MW REPRÉSENTENT DES ÉVÉNEMENTS CLINIQUES QUI SE SONT PRODUITS EN 2023.

TABEAU 11

Résumé des saignements, 2023*

Âge au premier saignement, en mois, médiane (IQR)	4 (2-24)
Patient·e n'ayant présenté aucun saignement en 2023, n (%)	154 (33 %)
Total des saignements**, n	2 426
Localisation du saignement, n (%)	
Articulation	297 (12 %)
Muscle	125 (5 %)
Saignement menstruel abondant	468 (32 %)
Saignement gastrointestinal	53 (2 %)
Cou/gorge	21 (1 %)
Autres saignements	1 408 (58 %)

* Les données 2023 pour les personnes atteintes de la maladie de Willebrand de République tchèque n'étaient pas disponibles au moment de la publication.

** Il est possible que les personnes atteintes de la maladie de Willebrand aient présenté des saignements en plusieurs endroits.

4 MOIS

ÂGE MÉDIAN AU PREMIER SAIGNEMENT
POUR LES PERSONNES ATTEINTES DE LA
MALADIE DE WILLEBRAND

24 %

DES PERSONNES ATTEINTES DE LA
MALADIE DE WILLEBRAND AYANT
REÇU AU MOINS 1 TRAITEMENT
EN 2023

2 %

DES PERSONNES ATTEINTES DE
LA MALADIE DE WILLEBRAND SOUS
PROPHYLAXIE EN 2023



PROGRAMME D'ACCRÉDITATION DE LA QUALITÉ DES DONNÉES DU RMTC

L'objectif du Programme d'accréditation de la qualité des données (AOD) est la standardisation des procédures entre les CTH, et l'assurance que toutes les données entrées dans le RMTC sont d'excellente qualité. On utilise un processus fiable de validation et de nettoyage des données qui vise à renforcer l'exactitude, l'uniformité et l'exhaustivité des données de la base.

Toutes les données sont évaluées sur 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 complètes et en faisant des retours sur la qualité des données. Les données incomplètes ou non uniformes sont signalées aux CTH par le biais de formulaires de clarification, leur demandant de mettre à jour les 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 (cf. figure 32).



73 % (71) DES CTH

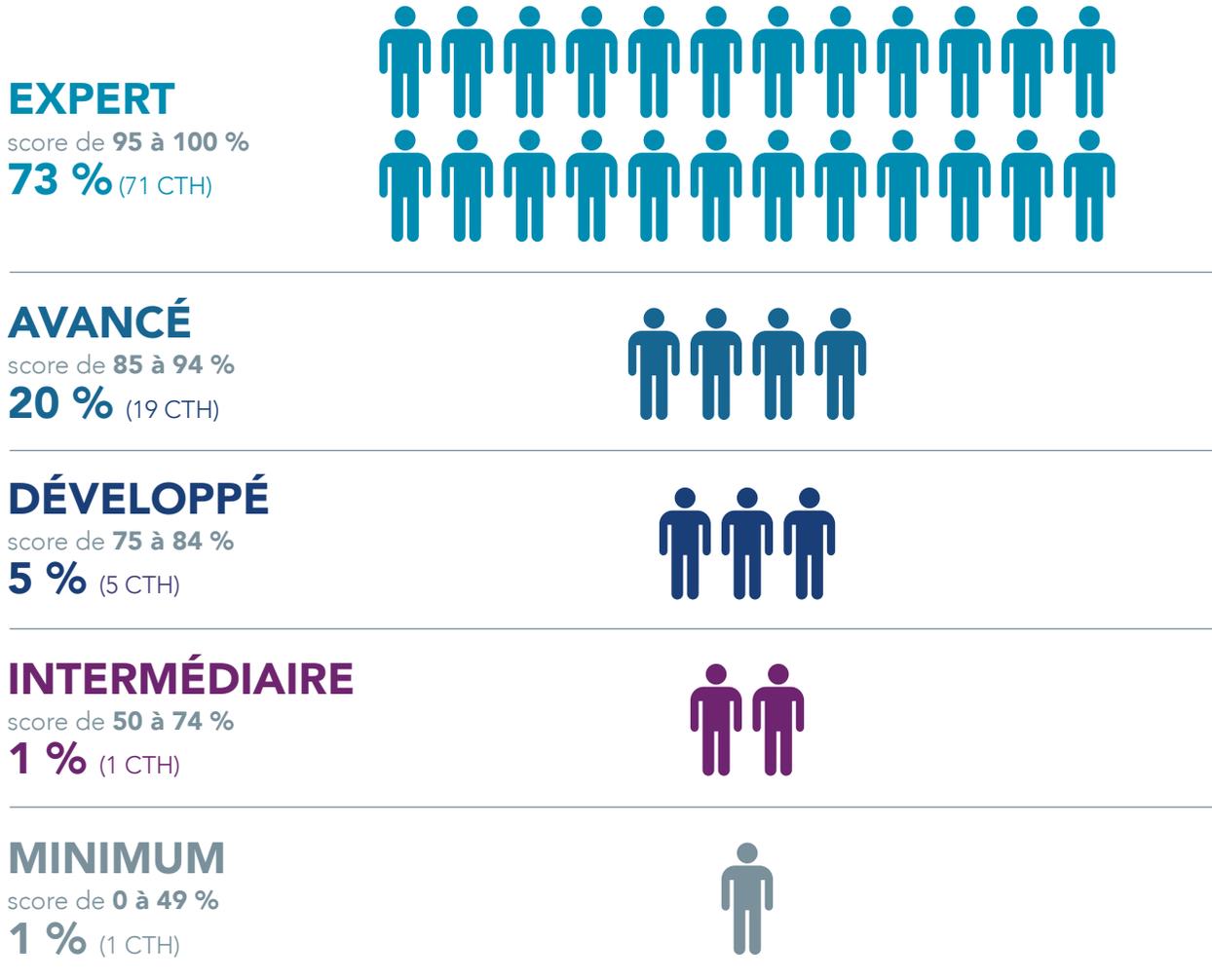
ONT ATTEINT LE PLUS HAUT NIVEAU DU CLASSEMENT DE LA QUALITÉ DES DONNÉES, ET ONT ÉTÉ **CLASSÉS COMME « EXPERTS ».**

(SCORE DE QUALITÉ DES DONNÉES ≥ 95 %)

En 2023, l'équipe du RMTC a travaillé directement avec 97 CTH. 71 d'entre eux (73 %) ont été classés « experts » (affichant un score de qualité supérieur ou égal à 95 %), ce qui est le plus haut niveau de qualité des données.

Figure 32

Échelle d'évaluation de la qualité des données du RMTC



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

Le programme AQD du RMTC permet à la FMH et à ses CTH partenaires de suivre et d'évaluer régulièrement la qualité des données contenues dans le RMTC, de prévenir et de gérer les problèmes relatifs à la qualité des données, et de déterminer les domaines prioritaires d'amélioration. En appliquant le programme AQD du RMTC, la FMH vise à renforcer l'efficacité et la durabilité du RMTC.

PROGRAMME D'INTÉGRATION DES DONNÉES INTERNATIONALES

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 concrets sur les maladies rares dans diverses régions et dans le cadre d'économies différentes. Le Programme d'intégration des données internationales permet de fusionner les ressources provenant des registres existants sur l'hémophilie et d'optimiser l'utilité des données déjà disponibles en facilitant le transfert des données des registres de patient-es existant-es vers 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 le couplage de données avec le Registre du programme sur l'hémophilie de République tchèque (CNHPR). Depuis 2019, des données anonymisées provenant du CNHPR sont importées chaque année dans le RMTC. À ce jour, des données sur plus de 850 personnes atteintes d'hémophilie ont été recueillies et mises à jour chaque année ; 31 personnes atteintes d'hémophilie ont été nouvellement inscrites en 2023. Avec l'ajout du module pour la MW dans le RMTC en 2023, des données démographiques, cliniques et diagnostiques ont été importées pour la toute première fois sur plus de 270 personnes atteintes de la maladie de Willebrand depuis le CNHPR, et seront mises à jour chaque année.

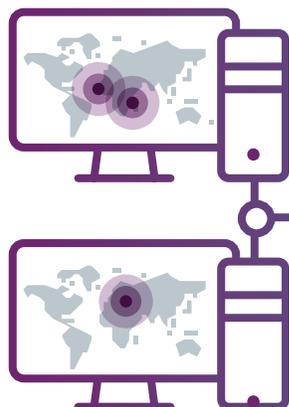
Depuis 2021, le Registre des troubles héréditaires de la coagulation (RTHC) de la Société thaïlandaise d'hématologie (STH) a collaboré avec le RMTC pour intégrer ses données dans le registre mondial. Huit des 10 CTH des hôpitaux universitaires ont participé à cette opération. En 2023, les données minimales et élargies de 300 personnes atteintes d'hémophilie A et B avaient été importées dans le RMTC, avec 8 personnes atteintes d'hémophilie nouvellement inscrites.

Au moment de la publication du présent rapport, la STH et la FMH envisagent la possibilité d'intégrer les ensembles minimaux de données des patient-es atteint-es de la MW dans le RMTC via le programme d'intégration des données internationales.

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

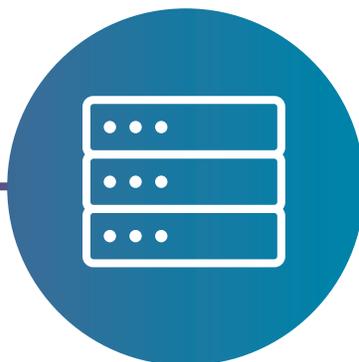
REGISTRES NATIONAUX DE L'HÉMOPHILIE

LIEUX MULTIPLES

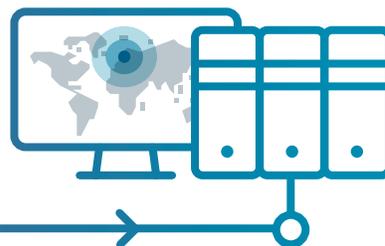


CARTOGRAPHIE DES DONNÉES

- TRANSFORMATION
- INTÉGRATION



RMTC SUÈDE



PROGRAMME DE SOUTIEN À LA RECHERCHE DU RMTC

Le Programme de soutien à la recherche du RMTC vise à proposer des petites bourses de recherche pour encourager l'utilisation des données du RMTC. Ce programme est ouvert à tous les CTH participants, de tous les pays, à condition qu'ils participent au RMTC.

En 2023, sept CTH ont reçu des financements pour leur projet de recherche. Depuis 2018, nous avons aidé à financer 46 projets de recherche dans 24 pays.

Depuis 2018 :



PAYS

24



PROJETS DE RECHERCHE

46



CTH AYANT PARTICIPÉ

39



SOMME TOTALE
ATTRIBUÉE

>200,000
USD



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

23

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 membres du 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 patient-es, l'enregistrement des consultations de suivi et l'utilisation d'outils d'évaluation des capacités fonctionnelles et de la qualité de vie. Les CTH éligibles reçoivent une compensation basée sur le nombre de patient-es inscrit-es de manière active dans le RMTC ou sur le nombre de patient-es atteint-es d'hémophilie suivis au sein du CTH au moment de la candidature. Les fonds sont alloués pour une période d'un an.

L'impact du programme est démontré par l'amélioration significative du recrutement des patient-es et de la collecte des données en général. Les CTH bénéficiaires de ce programme ont ainsi recruté 519 nouvelles personnes atteintes d'hémophilie sur l'année 2023.

Pour en savoir plus, consultez notre [page dédiée](#).



APPLICATION MOBILE myWBDR

myWBDR est une application mobile destinée aux patient·es ayant reçu un diagnostic d'hémophilie ou de MW. Son objectif principal est de rendre ses utilisateurs et utilisatrices autonomes : elle offre une plateforme accessible pour surveiller et suivre sans difficulté les saignements, les niveaux de douleur, les traitements et l'état de santé général, grâce à des questionnaires EQ-5D-5L et PROBE.

Elle est disponible dans les langues suivantes : anglais, arabe, espagnol, français, hindi, portugais, russe, thaï et vietnamien.

myWBDR a été lancée officiellement en mai 2022. Depuis, elle a été adoptée dans 13 pays et regroupe plus de 700 signalements de saignements et 5 000 entrées de traitement, ce qui confirme son rôle majeur dans la collecte de données directement par les patient·es. Cela contribue à une meilleure prise en charge clinique et à la génération de preuves essentielles pour la recherche sur les troubles de la coagulation et la prise de décision dans ce domaine.

myWBDR est également un outil important pour les professionnel·les de santé (PDS), qui leur permet de suivre l'état de santé de leurs patient·es et d'améliorer la qualité des soins et du traitement proposés. Elle est accessible via les CTH participant au RMTC. Les personnes intéressées peuvent contacter leur PDS afin de démarrer le processus d'inscription.

Pour toute question ou demande d'information supplémentaire à propos de myWBDR, merci de nous contacter à l'adresse myWBDR@wfh.org.

ANNEXE 1 – ENSEMBLES DE DONNÉES DU RMTC

Ensemble de données du RMTC

Données démographiques	Diagnostics	Tableau clinique
Date de naissance	Date du diagnostic	Saignements
Genre	Type d'hémophilie	Articulations cibles
Pays de résidence	Sévérité de l'hémophilie	Traitements
Emploi	Niveau de facteur de l'hémophilie	Statut d'inhibiteur
Formation	Antécédents d'inhibiteurs	Hospitalisation
Statut marital	Historique de traitements	Mortalité
	Historique des saignements	Événements indésirables
	Test génétique	Comorbidités
	Groupe sanguin	Évaluation de la capacité fonctionnelle*
	Antécédents familiaux	Évaluation de la qualité de vie**
		COVID-19

Les champs en gras constituent l'ensemble minimal de données.

* L'évaluation de la capacité fonctionnelle comprend : l'outil *Haemophilia Joint Health Score*, les maladies articulaires, l'amplitude des mouvements, le score de Gilbert de la FMH, et le *Functional Independence Score for Haemophilia*.

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

ANNEXE 2 – CTH PARTICIPANTS

Pays	Ville - Clinique
Afrique du Sud	<ul style="list-style-type: none"> • Bloemfontein - University of the Free State • Groote Schuur Haemophilia Comprehensive care centre • Kimberley - Kimberley Hospital
Algérie	<ul style="list-style-type: none"> • Annaba - Service d'hématologie CHU Annaba • Constantine - Unité hémophilie et maladies hémorragiques héréditaires
Argentina	<ul style="list-style-type: none"> • Bahía Blanca - CARDHE • Buenos Aires - Fundación de la Hemofilia and Instituto De Investigaciones Hematológicas « Dr. Mariano R. Castex »
Bangladesh	<ul style="list-style-type: none"> • Chittagong - Chittagong Medical College Hospital • Dhaka - Bangabandhu Sheikh Mujib Medical University • Dhaka - Dhaka Medical College • Dhaka - Dhaka Shishu Hospital • Dhaka - Lab One Foundation • Rajshahi - Rajshahi Medical College & Hospital
Barbade (La)	<ul style="list-style-type: none"> • Bridgetown - Queen Elizabeth Hospital
Belgique	<ul style="list-style-type: none"> • Woluwe-Saint-Lambert - Cliniques Universitaires Saint-Luc
Burkina Faso	<ul style="list-style-type: none"> • Ouagadougou - CHU Pédiatrique Charles de Gaulles
Cameroun	<ul style="list-style-type: none"> • Yaoundé - CHU Yaoundé
Côte d'Ivoire	<ul style="list-style-type: none"> • Abidjan - CHU de Yopougon
Cuba	<ul style="list-style-type: none"> • La Havane - Instituto de Hematología e Inmunología
Égypte	<ul style="list-style-type: none"> • Le Caire - Pediatric Hemophilia Centre, Ain Shams University • Giza - Shabrawishi Hospital • Mansoura - Mansoura University Children Hospital • Zagazig - pediatrics department, Zagazig University
El Salvador	<ul style="list-style-type: none"> • San Salvador - Hospital Nacional de Niños Benjamin Bloom
États-Unis	<ul style="list-style-type: none"> • Winston-Salem - Wake Forest Baptist Health
Éthiopie	<ul style="list-style-type: none"> • Addis Ababa - Tikur Anbessa Hospital
Ghana	<ul style="list-style-type: none"> • Kumasi - Komfo Anokye Teaching Hospital
Guinée	<ul style="list-style-type: none"> • Conakry - Hopital National Ignace Deen, CHU de Conakry
Inde	<ul style="list-style-type: none"> • Aluva - Haemophilia Treatment Centre, District Hospital • Bhopal - Gandhi Medical College • Dibrugarh - Assam Medical College Hemophilia Treatment Center • Kochi - Amrita Institute of Medical Sciences • Ludhiana - Christian Medical College • Manipal - Manipal Academy of Higher Education (MAHE) and Hemophilia Society Manipal Chapter • Noida - Post Graduate Institute of Child Health • Tiruvalla - Believers Church Medical College Hospital
Indonésie	<ul style="list-style-type: none"> • Banjarmasin - Ulin General Hospital

Pays	Ville - Clinique
Iran	<ul style="list-style-type: none"> Ahvaz - Baghaei 2 hospital
Iraq	<ul style="list-style-type: none"> Baghdad - Hemophilia Center - Medical City Baghdad - National Center of Hematology - Al-Mustansirya University Basra - Basra Center for Hereditary Blood Diseases
Kenya	<ul style="list-style-type: none"> Eldoret - Moi Teaching and Referral Hospital Nairobi - Kenyatta National Hospital
Kirghizistan	<ul style="list-style-type: none"> 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	<ul style="list-style-type: none"> Antananarivo - CHU Joseph Ravoahangy Andrianavalona (HJRA)
Malaisie	<ul style="list-style-type: none"> Alor Setar - Hospital Sultanah Bahiyah Ampang - Hospital Ampang George Town - Hospital Pulau Pinang Ipoh - Hospital Raja Permaisuri Bainun 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 Melaka - Hospital Melaka Seremban - Hospital Tuanku Ja'afar Taiping - Hospital Taiping
Malawi	<ul style="list-style-type: none"> Lilongwe - Kamuzu Central Hospital
Maroc	<ul style="list-style-type: none"> 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	<ul style="list-style-type: none"> Kathmandu - Civil Service Hospital
Nigeria	<ul style="list-style-type: none"> Abuja - National Hospital, Abuja Benin - University of Benin Teaching Hospital Enugu State - Southeast HTC, Department of Haematology, UNTH Ituku Ozalla Enugu Gombe - Gombe State University Ibadan - University of Ibadan Kano - Aminu Kano Teaching Hospital Lagos - Lagos University Teaching Hospital
Nouvelle-Zélande	<ul style="list-style-type: none"> Christchurch - Christchurch Hospital Palmerston North - Palmerston North hospital
Ouganda	<ul style="list-style-type: none"> Kampala - Mulago Hospital
Pakistan	<ul style="list-style-type: none"> Karachi - Haemophilia Welfare Society, Karachi Lahore - Haemophilia Treatment Centre Peshawar - Haemophilia Welfare Society, Peshawar Rawalpindi - Haemophilia Treatment Centre

Pays	Ville - Clinique
Panama	<ul style="list-style-type: none"> • Panamá City - Hospital del Niño
Philippines	<ul style="list-style-type: none"> • Manila - University of Santo Tomas Hospital
Portugal	<ul style="list-style-type: none"> • Lisbon - Comprehensive Care Centre of Congenital Coagulopathies, Santa Maria Hospital
République tchèque	<ul style="list-style-type: none"> • 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 - 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
Sénégal	<ul style="list-style-type: none"> • Dakar - Centre National de Transfusion Sanguine
Serbie	<ul style="list-style-type: none"> • Belgrade - Mother and Child Health Care Institute of Serbia « Dr. Vukan Cupic »
Soudan	<ul style="list-style-type: none"> • Khartoum - Haemophilia Center, Khartoum Teaching Hospital
Syrie	<ul style="list-style-type: none"> • Damascus - Syrian Hemophilia Society (SHS)
Thaïlande	<ul style="list-style-type: none"> • 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	<ul style="list-style-type: none"> • Tunis - Hôpital Aziza Othmana
Venezuela	<ul style="list-style-type: none"> • Caracas - Centro Nacional de Hemofilia - Banco Municipal de Sangre DC
Vietnam	<ul style="list-style-type: none"> • Hanoi - National Children's Hospital • Hanoi - National Institute of Hematology and Blood Transfusion • Ho Chi Minh City - Blood Transfusion Hematology
Zambie	<ul style="list-style-type: none"> • Lusaka - University Teaching Hospital

MERCI AUX PERSONNES ATTEINTES D'HÉMOPHILIE ET AUX PERSONNES ATTEINTES DE LA MALADIE DE WILLEBRAND

Un grand merci à chacune des personnes atteintes d'hémophilie et personnes atteintes de la maladie de Willebrand inscrite au RMTC qui a gracieusement accepté de partager ses données : vous nous aidez à améliorer la qualité des soins 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 leurs 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

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.

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.

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.

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

Desmopressine (DDAVP) : hormone de synthèse utilisée dans le traitement des formes les plus légères de la maladie de Willebrand ainsi que l'hémophilie A légère. Elle est administrée en intraveineuse, par injection sous-cutanée ou bien en spray nasal.

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.

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

Revenu national brut : revenu national brut (RNB) par tête (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 chaque année, le 1^{er} juillet.

Hémophilie A : maladie résultant d'une déficience en facteur VIII, aussi appelée hémophilie classique.

Hémophilie B : maladie résultant d'une déficience en facteur IX, aussi appelée maladie de Christmas.

Hémophilie légère : 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 légère ; elle s'étend 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.

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

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.

Maladie de Willebrand : trouble héréditaire de la coagulation provoqué par un défaut ou une déficience en facteur de Willebrand.

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

Registre : base de données ou archive des personnes identifiées comme étant atteintes d'hémophilie ou d'un trouble de la coagulation. Un registre comprend des informations sur les coordonnées, le traitement et les complications.

RÉFÉRENCES

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

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

³ Banque mondiale, 2023. Données de la Banque mondiale. <https://data.worldbank.org/>. Dernière consultation le 25 octobre 2023.

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), pp. 1935-9



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 de dons à l'usage de la FMH et de la FMH Etats-Unis sur le territoire étatsunien sont conduites par l'intermédiaire de WFH USA, organisation 501(c)3 affiliée.