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

Chapitre 6 PROPHYLAXIE DANS LE DOMAINE DE L'HÉMOPHILIE

Manuel Carcao, H. Marijke van den Berg, Emna Gouider, Kate Khair, Manuel A. Baarslag, Lisa Bagley, Francisco de Paula Careta, Rolf C. R. Ljung, Margaret V. Ragni, Elena Santagostino, Glenn F. Pierce, Alok Srivastava

RECOMMANDATIONS

6.1 | Introduction

Recommandation 6.1.1

Pour les patients atteints d'hémophilie A ou B avec un phénotype sévère (garder à l'esprit que cela peut concerner des patients atteints d'hémophilie modérée avec un phénotype sévère), la FMH recommande vivement que de tels patients bénéficient d'une prophylaxie suffisante pour prévenir en permanence les saignements, mais il convient que la prophylaxie soit individualisée, en tenant compte du phénotype des saignements, du capital articulaire, des données pharmacocinétiques individuelles, ainsi que des préférences et de l'évaluation faite par le patient.

• REMARQUE : par prophylaxie individualisée, on entend que, si le patient continue à avoir des saignements, son protocole prophylactique doit être renforcé (augmentation des doses et/ou de la fréquence) afin de prévenir les saignements.

• REMARQUE : dans les pays où l'offre de soins est extrêmement limitée, la FMH préconise toujours un recours à la prophylaxie plutôt qu'un traitement ponctuel, mais reconnaît qu'une prophylaxie à moindre dose peut être mise en œuvre. **BC**

Recommandation 6.1.2

Pour les enfants atteints d'hémophilie A ou B sévère, la FMH recommande d'initier rapidement une prophylaxie avec un traitement avec facteur de remplacement (facteur VIII ou IX standard ou à demi-vie prolongée) ou avec d'autres agents hémostatiques avant l'apparition de toute lésion articulaire, de préférence avant l'âge de trois ans, afin de prévenir les saignements spontanés et les saignements intercurrents, notamment les hémarthroses susceptibles d'entraîner des complications articulaires. **BC**

Recommandation 6.1.3

Pour les adolescents et les adultes atteints d'hémophilie présentant des lésions articulaires sans être sous prophylaxie, la FMH recommande d'initier une prophylaxie tertiaire afin de réduire le nombre d'hémarthroses, de saignements spontanés et de saignements intercurrents et de ralentir la progression d'une arthropathie hémophilique. **BC**

6.2 | Avantages de la prophylaxie

Recommandation 6.2.1

Pour les patients atteints d'hémophilie A ou B et présentant un phénotype sévère, en particulier les enfants, la FMH recommande une prophylaxie régulière à long terme comme traitement de référence pour prévenir les hémarthroses et les autres saignements spontanés et intercurrents, maintenir la santé musculo squelettique et promouvoir la qualité de vie. Lorsqu'il n'est pas possible de mettre en œuvre une prophylaxie, le traitement ponctuel est alors essentiel pour traiter les hémorragies aiguës, mais il ne permet pas de prévenir les lésions articulaires à long terme.

• REMARQUE : à long terme, la mise en œuvre d'une prophylaxie précoce et régulière chez les enfants réduit les hémarthroses et les autres saignements dus à l'hémophilie, permet d'obtenir de meilleurs résultats aussi bien sur le plan articulaire que sur la santé en général, réduit le nombre de visites à l'hôpital et d'hospitalisations, et peut éviter le recours à de futures procédures orthopédiques, notamment chirurgicales. **BC**

6.3 | Prophylaxie avec facteur à demi-vie standard

Recommandation 6.3.1

Pour les patients atteints d'hémophilie A ou B et présentant un phénotype sévère, il est recommandé de mettre en place une prophylaxie (avec des concentrés à demi vie standard et prolongée) à une dose et à une fréquence (en fonction des propriétés pharmacocinétiques du concentré de facteur de coagulation utilisé) leur permettant d'avoir à tout moment suffisamment de facteur dans l'organisme pour prévenir toute hémarthrose et tout saignement spontané ou intercurrent, en fonction de leurs besoins et de leur mode de vie individuels, et de préserver la fonction musculo squelettique.

• REMARQUE : par le passé, on estimait qu'un taux résiduel de 1 UI/dl (1 %) était pertinent. Aujourd'hui, on estime qu'avec un tel taux, le risque de saignement demeure. La plupart des cliniciens préfèrent viser un taux résiduel plus élevé (> 3 à 5 %, ou plus). Des études récentes indiquent que de tels taux résiduels permettent de réduire les saignements. Toutefois, l'inconvénient est qu'en visant des taux résiduels plus élevés, il est nécessaire d'augmenter les doses ou la fréquence des injections de concentrés de facteur de coagulation. Il convient par conséquent de personnaliser la prophylaxie en fonction des activités et du mode de vie du patient de même que des caractéristiques pharmacocinétiques du facteur. **BC**

Chapitre 6 PROPHYLAXIE DANS LE DOMAINE DE L'HÉMOPHILIE

Recommandation 6.3.2
Pour les patients qui respectent le protocole de soins prescrit, mais qui présentent encore des saignements, la FMH recommande d'intensifier la prophylaxie en mesurant les taux résiduels et, le cas échéant, d'engager des procédures orthopédiques, selon que de besoin.
• REMARQUE : chez les patients n'obtenant pas de résultats satisfaisants avec le traitement avec facteur de remplacement, alors que le traitement fonctionnait auparavant, il convient de dépister la présence de tout inhibiteur avant de renforcer la prophylaxie. **BC**

6.4 | Prophylaxie avec facteur à demi-vie prolongée

Recommandation 6.4.1
Pour les patients atteints d'hémophilie A ou B présentant un phénotype sévère et utilisant des concentrés de facteur VIII ou IX à demi-vie prolongée, la FMH recommande une prophylaxie avec des concentrés de facteur de coagulation à demi-vie prolongée à des doses et à une fréquence suffisante pour prévenir les hémarthroses et les saignements spontanés et intercurrents et préserver ainsi le capital articulaire. **BC**

6.5 | Prophylaxie par traitement sans facteur de remplacement

Recommandation 6.5.1
Pour les patients atteints d'hémophilie A présentant un phénotype sévère sans inhibiteurs, une prophylaxie par emicizumab préviendra les hémarthroses, ainsi que les saignements spontanés et intercurrents.
• REMARQUE : la FMH constate toutefois qu'il existe peu de données à long terme concernant les résultats obtenus chez les patients bénéficiant d'un tel traitement, et recommande de recueillir de telles données. **BC**

6.6 | Protocoles prophylactiques fixes/non individualisés

Recommandation 6.6.1
Pour les patients atteints d'hémophilie A ou B modérée ou sévère, notamment ceux ayant fait face à une hémorragie engageant le pronostic vital (par exemple, hémorragie intracrânienne), la FMH recommande une prophylaxie avec des concentrés de facteur VIII ou IX ou avec des agents non substitutifs en facteur de coagulation (par exemple, l'emicizumab pour l'hémophilie A) visant à prévenir une autre hémorragie susceptible d'engager le pronostic vital. Ceci est particulièrement important au cours des trois à six mois suivant une hémorragie intracrânienne, dans la mesure où le risque de récidive est le plus important pendant cette période.
• REMARQUE : la survenue d'inhibiteurs étant corrélée à une exposition intense à un traitement, comme c'est le cas lors d'une hémorragie intracrânienne, il convient d'assurer une bonne surveillance clinique du traitement administré et de procéder à de fréquents tests en laboratoire pour vérifier toute présence d'inhibiteurs. **BC**

Recommandation 6.6.2
Pour les patients atteints d'hémophilie ayant un accès veineux difficile empêchant des injections régulières de concentrés de facteur de coagulation, la FMH recommande la pose d'un dispositif d'accès veineux central pour faciliter l'administration prophylactique des concentrés de facteur de coagulation. Il existe une autre alternative thérapeutique, l'emicizumab, et la commercialisation d'autres traitements non substitutifs en facteur de coagulation par voie sous cutanée pourrait bientôt être autorisée. **BC**

6.8 | Adhésion et éducation thérapeutique du patient/de l'aidant

Recommandation 6.8.1
Pour les patients atteints d'hémophilie A ou B présentant un phénotype sévère, la FMH recommande de dispenser aux patients/aidants une éducation thérapeutique afin de tenir à jour, de façon précise et en temps opportun, un carnet de santé dans lequel figurent les épisodes hémorragiques et le traitement, et qu'ils soient suivis dans des centres de traitement de l'hémophilie. **BC**

6.10 | Prophylaxie à faible dose pour les patients ayant un accès limité aux concentrés de facteur de coagulation

Recommandation 6.10.1
Pour les patients atteints d'hémophilie A ou B présentant un phénotype sévère et vivant dans des pays aux ressources sanitaires limitées, la FMH recommande vivement la prophylaxie (même si la seule option est une prophylaxie à faible dose) par rapport à un traitement ponctuel avec facteur de remplacement afin de réduire les hémarthroses et les autres saignements spontanés et intercurrents et de préserver le capital articulaire. **BC**

BC, Basé sur un consensus.

La présente ressource pédagogique a été conçue grâce au soutien de l'Hemophilia Alliance.
Pour plus d'informations sur les Lignes directrices de la FMH pour la prise en charge de l'hémophilie, rendez-vous au www.wfh.org/TGresourcehub/FR