

Hémophilie

et maladie de Willebrand



Revue trimestrielle de l'Association française des hémophiles

XXIX^e Congrès mondial de l'hémophilie à Buenos Aires

DOSSIER central

Journée d'information
destinée aux
médecins
gynécologues :
« Maladie de
Willebrand et
ménorragies »

Congrès national
2010 de l'AFH
à Strasbourg

Rencontre avec...
l'Association
éthiopienne des
hémophiles

Observatoire sur
les droits des
malades :
les principaux
questionnements
des patients...

Education
thérapeutique du
patient :
l'AFH remporte
l'appel à projets
de la DGS

Actualités

Droit et santé

Au quotidien



Prix au numéro : 6 euros

Septembre 2010 N° 191

Les seniors, la mémoire de l'AFH

Avec l'amélioration de la prise en charge thérapeutique, la durée de vie moyenne des patients hémophiles a connu ces dernières années une augmentation considérable. Il y a 25 ans, elle était d'environ 40 ans, aujourd'hui elle se rapproche de celle de la population contrôlée. Pour répondre aux nouvelles problématiques liées au vieillissement des patients, l'AFH a créé en 2008 une nouvelle commission : la commission « Seniors »¹.

A l'initiative du Pr Jean-François Schved, du centre de traitement de l'hémophilie (CTH) de Montpellier, un programme d'information destiné aux patients seniors a été lancé en mai 2010, en présence des délégués des comités régionaux de l'AFH. Les principales problématiques de santé ayant émergé avec le vieillissement des hémophiles, telles que les maladies cardiovasculaires, les cancers et l'ostéoporose, doivent faire l'objet d'un traitement particulier pour les patients hémophiles : 77 % des seniors de plus de 65 ans sont atteints d'au moins deux maladies chroniques. Pour répondre à ces nouveaux besoins, le Pr Schved a mis en place un groupe de travail au sein de la Coordination médicale pour l'étude et le traitement des maladies hémorragiques constitutionnelles (COMETH) composé de professionnels de santé, avec comme objectif la publication de recommandations – cette question étant encore très peu traitée dans la littérature médicale.

La Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) se mobilise également autour de cette nouvelle problématique et a centré plusieurs exposés présentés lors du Congrès mondial de l'hémophilie de Buenos Aires autour du thème du vieillissement². Le Dr Gerry Dolan, du CTH de Nottingham (Grande-Bretagne) a déclaré lors d'une session plénière : « Le fait même que nous ayons aujourd'hui un débat sur ce sujet est en soi une grande victoire : dans le passé, la plupart de nos patients n'atteignaient jamais un âge avancé. »

La prochaine étape de la commission « Seniors » de l'AFH est l'organisation de journées d'information des patients hémophiles de plus de 45 ans par des médecins spécialistes³. La première réunion se tiendra le 6 novembre prochain à Chambéry, sous la responsabilité du Dr Valérie Gay. Une 2^e rencontre sera organisée à la fin du mois de novembre 2010 en région.

Nous sommes fiers de l'implication des différents représentants de la communauté médicale et associative autour de cette problématique liée au vieillissement, qui tend à s'accroître au fil des années. Une augmentation de 75 % du nombre d'hémophiles seniors est attendue à l'horizon 2015.

1 • Lire les revues n° 185 page 9 et n° 189 pages 20-21.
2 • Lire le dossier page 12.
3 • Avec le soutien de CSL Behring.

Norbert Ferré
Président de l'AFH
Paris, le 23 septembre 2010

Directeur de publication : Norbert Ferré • Rédactrice en chef : Marion Elber • Comité de rédaction : Jean-François Dupont, Marion Elber, Norbert Ferré, Edmond-Luc Henry, Thomas Sannié • Ont participé à ce numéro : Brigitte Albert, Manuel Albert, Tadesse Belay, Anne-Marie Berthier, Cathy Bronner, Mathieu David, Jean-François Dupont, Sarah Ford, Laurent Gabriel, Jeannine Klein, Antoine Masson, Sébastien Masson, Marie-Anne Olivier, Marc Paris, Dorothee Pradines, Thomas Sannié, Claire Trequer, Pr Agnès Veyradier, Alain Weill • Conception graphique et mise en page : Bérangère Blaize • Révision : Thierry Klajman • Photogravure et impression : Impact Imprimerie • Photos : droits réservés, sauf page 1 © Fédération mondiale de l'hémophilie ; pages 10 à 11 © Marion Elber. Tirage : 2 600 exemplaires – ISSN : 1632-8515 - Dépôt légal : septembre 2010.

sommaire

Actualités

3 **Actions et agenda**

7 **Événement**
Congrès national 2010
de l'AFH à Strasbourg

9 **International**
Rencontre avec...
l'Association éthiopienne des
hémophiles

10 **Dossier international**
XXIX^e Congrès mondial de
l'hémophilie à Buenos Aires



Science et médecine

14 **Actualités**
Patient sentinelle,
des patients
au secours de la santé

15 **Dossier**
Journée d'information destinée
aux médecins gynécologues :
« Maladie de Willebrand
et ménorragies »



Droit et santé

20 **Arrêt sur...**
Observatoire sur les
droits des malades :
les principaux questionnements
des patients...

Au quotidien

22 **Actualités**
Éducation thérapeutique
du patient :
l'AFH remporte l'appel
à projets de la DGS

24 **Contacts de l'AFH**



Encart central :
bulletin d'adhésion

L'AFH remercie les laboratoires Baxter, Bayer Schering Pharma, CSL Behring, Ferring, LFB Biomédicaments, NovoNordisk, Octapharma et Pfizer, pour leur soutien continu.

Indemnisation des victimes contaminées par le VHC Renseignez votre formulaire de demande d'indemnisation

Comme vous le savez, tous les trimestres l'AFH vous fait part de l'évolution de la loi ouvrant droit au règlement amiable des dommages imputables à des contaminations par le virus de l'hépatite C (VHC) d'origine sanguine. L'Office national d'indemnisation des accidents médicaux (ONIAM) peut être saisi par toute personne invoquant un préjudice résultant d'une contamination par le VHC causée par une transfusion de produits sanguins ou une injection de médicaments dérivés du sang. L'ONIAM peut également être saisi par les ayants droit d'une personne contaminée, en cas de décès de cette dernière. Les demandeurs sont libres de saisir l'ONIAM soit par la voie d'une demande de règlement amiable, soit par la voie d'une action contentieuse intentée contre l'ONIAM devant le tribunal administratif territorialement compétent en fonction de leur lieu de domicile.

Le formulaire de demande d'indemnisation est disponible sur le site Internet de l'ONIAM : www.oniam.fr. Une fiche destinée à aider les victimes à constituer leur dossier d'indemnisation est également disponible sur ce site.

Pour tout renseignement, vous pouvez contacter l'ONIAM :

Tél. : 0810 600 160 – E-mail : hepatite-c@oniam.fr

Adresse : ONIAM

Tour Gallieni II

36, av. du Général-de-Gaulle

93175 Bagnolet CEDEX

Les demandes de règlement amiable devront être adressées par lettre recommandée avec accusé de réception à l'ONIAM, services des transfusés et hémophiles (attention : les commissions régionales de conciliation et d'indemnisation ne sont pas compétentes pour ces demandes).

Nous conseillons aux patients concernés de prendre contact avec le comité régional de l'AFH dont ils dépendent, et de faire appel, s'ils le souhaitent, aux avocats avec lesquels l'AFH a établi une convention d'honoraires.



Un représentant de l'AFH élu à la présidence de la CRSA d'Ile-de-France

Thomas Sannié, chargé de la santé publique et président du comité Ile-de-France de l'AFH, a été élu en juillet dernier président de la Conférence régionale de la santé et de l'autonomie (CRSA) d'Ile-de-France. Récemment, il avait été nommé membre du conseil de surveillance de l'Assistance publique-Hôpitaux de Paris (AP-HP), en tant que personnalité qualifiée. Il est également membre du conseil d'administration du Collectif interassociatif sur la santé (CISS), en tant que représentant de l'AFH.

Nous nous félicitons de cette élection de Thomas Sannié à la présidence de la CRSA, qui témoigne de la reconnaissance de l'expertise de l'AFH dans la prise en charge des dossiers de santé publique.

Inscrivez-vous au groupe Facebook de l'AFH

Venez nous rejoindre sur le groupe sécurisé « Association française des hémophiles (OFFICIEL) » accessible sur le réseau social Facebook, et venez partager avec d'autres patients votre expérience de l'hémophilie et de la maladie de Willebrand ! Le groupe compte aujourd'hui plus de 220 membres.



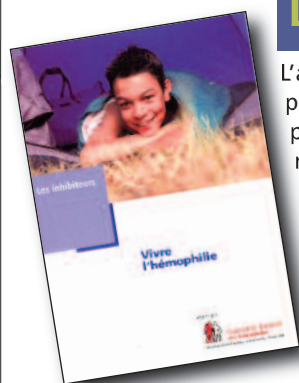
L'AFH publie un livret sur les inhibiteurs

L'apparition d'un inhibiteur est aujourd'hui la complication majeure du traitement substitutif de l'hémophilie. C'est pourquoi l'AFH met à votre disposition un livret informatif*, pour vous permettre de comprendre le développement des inhibiteurs chez les patients hémophiles, ainsi que les données actuelles relatives au traitement de cette complication.

Qu'est-ce qu'un inhibiteur ? Quels sont les facteurs favorisant son apparition ? Comment traiter un accident hémorragique chez un patient avec un inhibiteur ? Peut-on faire disparaître un inhibiteur ? Telles sont les questions auxquelles nous nous efforcerons de répondre, à l'aide de schémas et d'un lexique.

► Si vous souhaitez recevoir un exemplaire de ce livret, adressez-vous au siège de l'AFH :

Tél. : 01 45 67 77 67 – E-mail : info@afh.asso.fr



*Avec le soutien d'Octapharma.

Marion Elber
Rédactrice en chef

La commission « Jeunes adultes » sur la route des rois de France

Le temps d'une semaine, nous nous sommes retrouvés pour un périple d'environ 180 kilomètres à bicyclette qui nous a menés de Blois à Saumur, en traversant entre autres les villes de Tours, d'Amboise et de Langeais*.



Au programme de notre aventure, de magnifiques paysages, de franches rigolades et de bonnes heures d'activités sportives sans incident, avec entre autres : la visite des châteaux de Chambord, Amboise et Langeais, ainsi que du musée Maurice-Dufresne à Azay-le-Rideau et du musée des Blindés à Saumur ; de magnifiques balades le long de la Loire, à travers les champs et les vignes de Touraine ; et une très bonne ambiance autour de nos pique-niques et de nos soirées dans les différents campings qui nous ont accueillis le long de notre trajet.



Merci à Dorothée, Gaëtan, Manon, Mathieu, Nadège, Nicolas et Thomas pour cette superbe aventure vécue ensemble, ainsi qu'aux régionaux Emilie et Ludovic, qui nous ont aidés à établir notre parcours et que nous avons retrouvés le temps d'une soirée à Amboise ! Cette semaine nous a permis d'avoir de riches échanges entre « jeunes adultes » et de partager notre expérience de l'hémophilie.

La commission « Jeunes adultes » doit se réunir le 16 octobre à Marseille pour établir le programme de l'année prochaine. Si vous ne pouvez pas venir, nous ne manquerons pas de vous tenir au courant afin d'être encore plus nombreux lors de nos prochaines sorties !

*Avec le soutien de Pfizer.

Mathieu David

Membre de la commission « Jeunes adultes »

Un programme d'échange linguistique pour les jeunes hémophiles

Manuel, jeune adhérent de l'AFH, a enfin réalisé son rêve, grâce à la commission « Famille » de l'AFH : vivre quelques jours au sein d'une famille anglaise...

« J'avais envie d'aller en Angleterre depuis plusieurs années, mais mes parents avaient du mal à trouver une famille à cause de mon hémophilie : quand les gens apprenaient ma pathologie, ils avaient peur de m'accueillir. Alors on a eu l'idée de contacter Cathy Bronner, responsable de la commission « Famille » de l'AFH. Elle a tout de suite été d'accord pour me chercher une famille, et elle en a parlé à Claire Treger, qui s'occupe de l'association des hémophiles de Grande-Bretagne. C'est comme ça que je suis allé deux semaines, en août dernier, chez Gethin et Ieuan au pays de Galles. C'était génial, en plus comme ils sont atteints de la maladie de Willebrand, chez eux personne n'était stressé à cause de mon hémophilie : ils connaissaient déjà la maladie et personne ne m'a posé de question – c'est mieux, parce que je n'aime pas trop en parler. Je me suis débrouillé tout seul pour mes injections. Avec les garçons, on est allé à la pêche, à la piscine. J'ai appris à connaître leurs copains et j'ai beaucoup parlé anglais. On est aussi allé dans un super parc d'attractions, et j'ai participé à un week-end organisé par Claire pour les jeunes de l'Association anglaise des hémophiles. Les parents aussi étaient très sympas. C'était vraiment bien. Les garçons vont venir à leur tour chez moi, sans doute pour les prochaines vacances. »

Manuel Albert
Jeune adhérent de l'AFH

Manuel et Ieuan se sont rencontrés lors de l'échange linguistique.



« Manuel a passé un très bon séjour au pays de Galles ; il était ravi. Les garçons, Gethin et Ieuan, viendront chez nous aux vacances de la Toussaint. Je souhaite vraiment que l'expérience que vivent nos trois garçons donne envie à d'autres, en tout cas nous avons bien l'intention d'en parler autour de nous et de partager cette expérience avec d'autres familles. Manuel est parti très détendu concernant son hémophilie – non pas qu'il vive mal sa maladie, mais il traverse une période où il n'aime pas trop en parler ; là, il n'a pas eu besoin de tout expliquer, tout s'est fait très naturel-lement. La famille qui l'a accueilli n'a ressenti aucun stress par rapport à la maladie ; ce séjour a vraiment été génial. Mille mercis pour tout ! »

Brigitte Albert
Maman de Manuel

France-Hongrie, une rencontre entre adolescents

Cette année, la commission « Famille » de l'AFH a organisé à Paris, du 26 au 29 août, une rencontre entre adolescents français et hongrois*. Nous avons laissé la parole à Sébastien, jeune hémophile de l'AFH, qui a tenu à nous faire partager son carnet de voyage.

Le premier jour, nous sommes arrivés à l'auberge vers 16h pour accueillir nos amis hongrois, puis Cathy nous a donné les clefs de nos chambres pour ranger toutes nos affaires.

A 17h15, départ de l'auberge avec nos nouveaux camarades pour l'Institut hongrois de Paris ; nous avons été accueillis par Zoltan Jeney, qui nous a présenté les « échanges culturels et linguistiques entre la Hongrie et la France depuis le Moyen Age ». Après, nous avons pris le métro pour aller déjeuner. De retour à l'auberge à 22h45, nous avons fait une réunion collective pour préparer la journée du lendemain.

Le lendemain (vendredi), petit-déjeuner à 7h30, aide au traitement pour ceux qui en avaient besoin, et départ à 9h30 pour le château de Versailles. Nous sommes arrivés à 11h45, puis nous avons mangé au bord d'un lac où il y avait des oiseaux. A 13h, nous avons entamé la visite guidée du château ; nous avons vu les appartements du roi et son opéra. Nous avons aussi vu la galerie des Glaces et de nombreux tableaux. La visite s'est terminée par une rapide balade dans les jardins. Puis, de retour à l'auberge en bus, nous n'avons pas manqué le charme des bouchons parisiens. Après un peu de temps libre, nous sommes retournés au restaurant pour le repas du soir, avant de rentrer à l'auberge à 21h pour un gros « dodo » bien mérité.

Le samedi matin, après le petit-déjeuner et les traitements, nous sommes allés visiter le Sacré-Cœur ; c'était très beau, on voyait même la tour Eiffel. Avec un accompagnateur, nous avons visité les rues de Montmartre. A 12h, nous avons mangé en bas de la basilique dans un très joli parc. Ensuite, départ pour le musée du Louvre en métro ; il y avait plein de monde à l'accueil, mais Cathy Bronner a pris des raccourcis et nous n'avons pas trop attendu. Nous avons vu des tableaux italiens et surtout *la Joconde*, puis nous avons visité la salle des antiquités égyptiennes et grecques. Ensuite, nous nous sommes rendus sur l'avenue des Champs-Élysées où il y avait des danseurs. Le soir, nous avons fait un « dîner croisière » sur une péniche puis, après une photo de groupe, direction la tour Eiffel où nous avons admiré la « Dame de fer ». De retour à l'auberge, nous avons discuté tardivement la fenêtre ouverte, en profitant du bruit parisien.

Dimanche matin, après les préparatifs, nous nous sommes rendus, à pied cette fois-ci, à Notre-Dame, en passant par le Pont-Neuf. Il y avait une messe et nous avons écouté des chants grégoriens. Après avoir fait le tour de la cathédrale, nous sommes allés nous reposer au parc.

A 12h, nous nous sommes mis en route pour déjeuner, en passant par la mairie de Paris et le centre Georges-Pompidou. Nous sommes rentrés à l'auberge en début d'après-midi, pour raccompagner nos amis hongrois à leur bus et faire nos adieux. Cette rencontre a été l'occasion de partager notre expérience de la maladie avec des adolescents d'un autre pays. Malheureusement, ce merveilleux séjour n'a duré que 4 jours, mais ce furent 4 jours de bonheur.

Sébastien Masson
Jeune adhérent de l'AFH

Poème d'Antoine et Sébastien Masson.

*Avec le soutien de Pfizer.

National

Réunion de bureau
Lundi 18 octobre conférence téléphonique.
Vendredi 26 novembre à Paris.

Conseil d'administration
Samedi 11 décembre 2010 à Paris.
Samedi 12 mars 2011 à Paris.
Dimanche 29 mai 2011 à La Rochelle.
Samedi 17 septembre 2011 à Paris.
Samedi 10 décembre 2011 à Paris.

Conseil scientifique
Samedi 9 octobre à Paris.

Formation juridique
Samedi 2 octobre à Paris.
Samedi 27 novembre à Paris.

Formation comptable
Samedi 6 novembre à Paris.

Formation sur la transfusion sanguine, dispensée par l'INTS
Vendredi 10 décembre à Paris.

Commission « Femmes »
Dimanche 7 novembre à Paris.

Commission « Jeunes adultes »
Samedi 16 octobre à Marseille.

Commission « Seniors »
Samedi 6 novembre à Chambéry.
Dimanche 12 décembre à Paris.

Commission « Willebrand »
Dimanche 12 décembre à Paris.

Congrès national 2011

Samedi 28 et dimanche 29 mai
à La Rochelle.

Congrès mondial 2012

Du dimanche 8 au jeudi 12 juillet
à Paris.

Régional

Comité Aquitaine
Samedi 9 octobre : escapade au cœur
des Landes, à l'écomusée de Marquèze.

Comité Bourgogne - Franche-Comté
Dimanche 7 novembre : AG* à Dijon.

Comité Centre
Samedi 4 décembre : arbre de Noël.

Comité Ile-de-France
Samedi 27 novembre : rencontre
régionale de l'hémophilie et de la
maladie de Willebrand.
Jeudi 14 octobre : petit-déjeuner santé
« Hémophilie mineure et modérée ».

Comité PACA - Corse
Dimanche 17 octobre : AG*.
Fin novembre : loto.

International

Congrès européen de l'hémophilie 2010
Du 22 au 24 octobre à Lisbonne, Portugal.

Comité d'organisation de Paris 2012
Samedi 6 et dimanche 7 novembre
à Montréal, Canada.

Table ronde associative
Du 1^{er} au 3 octobre à Rome, Italie.

Formation des kinésithérapeutes
Du 5 au 8 octobre à Dakar, Sénégal.

1^{res} universités d'été du comité Centre

Après les « Ateliers de vie » de novembre 2009 sur l'île de Noirmoutier, cette année le comité Centre de l'AFH réaffirme son engagement associatif envers l'éducation thérapeutique des patients de tout âge, en organisant les « 1^{res} universités d'été ».

Plus de 55 personnes avaient répondu favorablement à notre invitation à Vernou, près de Tours. A partir de 10 heures, nous nous affairions à mettre en place notre journée, dans une excellente ambiance, très conviviale, où chacun n'hésitait pas à payer de sa personne. Sous un soleil de plomb, la partie ombragée du domaine nous donnait l'impression d'être en vacances. Au bord d'un petit étang où les herbes avaient été fraîchement coupées, nous avons rapidement trouvé nos marques. Les petits dans le bac à sable, les adolescents au ping-pong ou aux boules, les grands à l'installation des tables et des chaises. Après un barbecue où merguez et chipolatas furent très appréciées, tous aspiraient à l'oisiveté, mais il fallait bien travailler...



A mi-chemin entre journée de détente et journée d'information, ces universités d'été ont ouvert la porte à de nombreux échanges. L'écoute entre hémophiles de tout âge a permis à de jeunes familles de mieux appréhender la vie future de leur enfant. Ce premier essai s'est avéré très constructif et appelle à améliorer le concept. Autour d'un pique-nique étaient organisées plusieurs tables rondes abordant les thématiques établies lors des inscriptions. Chaque atelier était mené par des personnes ayant déjà une expérience de l'écoute. Le Patient ressource a pu mesurer le rôle prépondérant d'un lien entre le monde associatif et le monde médical. Par son expérience d'hémophile, il a su apporter cette énergie positive aux jeunes familles, avec ses propres mots et son ressenti.

Les thèmes abordés avaient pour fil rouge l'indemnisation du virus de l'hépatite C par l'ONIAM (Office national d'indemnisation des accidents médicaux) et les commissions « Famille », « Seniors », « Femmes »...

Cette forme de rencontre resserre encore plus les liens entre nous, et surtout rappelle le rôle positif et indispensable de notre association envers ses adhérents. Un grand merci à toute la famille Chillou (parents, grands-parents et amis...), adhérente du comité, de nous avoir proposé sa propriété gracieusement et d'avoir organisé un superbe barbecue.

Le bureau du comité Centre

Le comité Limousin se retrouve pour une journée détente

Le 8 juillet dernier, les membres du comité Limousin de l'AFH ont effectué une sortie à Bussières-Galant dans la Haute-Vienne, à l'espace Hermeline.

Nous étions une vingtaine à participer à cette sortie avec beaucoup de joie, car le soleil était au rendez-vous : patients hémophiles, parents et amis d'hémophiles étaient présents. En cette belle journée de juillet, nous avons fait de l'accrobranche, du petit train et aussi du vélo-rail, et le midi nous avons organisé un pique-nique tous ensemble. Cette journée a également été l'occasion de fêter le départ à la retraite de notre membre d'honneur, Mme Sadry.

Nous souhaitons remercier pour cette sortie* Jean-François Duport, président du comité Centre et coordinateur des comités régionaux de l'AFH.

*Avec le soutien de Pfizer.



Laurent Gabriel
Secrétaire du comité Limousin

Congrès national 2010 de l'AFH à Strasbourg

Après trois années de travail acharné et de tractations, le comité Alsace de l'AFH a reçu pour la 2^e fois les hémophiles de toute la France, dans le cadre du congrès annuel 2010 de l'association.

■ Une organisation colossale

Outre les démarches logistiques et pratiques, il a fallu réfléchir au programme médical avec l'aide du Dr Faradji, médecin coordonnateur du centre de compétence de Strasbourg. Au cours de leurs consultations, le Dr Faradji et son équipe ont été frappés par l'incohérence entre les possibilités de soins actuels et l'état de santé de certains patients, et ils ont décidé de travailler sur cette question préoccupante. Il convenait d'améliorer les possibilités des patients face à la maladie. Parmi toutes les voies possibles, celle de l'éducation thérapeutique apparaît comme la plus prometteuse. Le thème de la journée médicale était donc défini : « L'éducation thérapeutique du patient (ETP) ». Le choix des intervenants et des sujets exposés est revenu au Dr Faradji. L'expérience professionnelle des différents intervenants nous a conduits à présenter les questions de l'ETP, en passant par la négligence du risque et la non-observance du traitement.

Au fil des mois qui s'écoulaient, à chaque rencontre notre comité ressemblait davantage à une fourmilière. Nous avons finalement choisi d'avoir un interlocuteur unique pour les prestataires, une personne responsable des demandes de subvention et une des comptes... En parallèle, une équipe composée de jeunes gens, sous la responsabilité de Sandra Genique, a préparé le programme pour les moins de 17 ans. Mission complexe, car il a fallu trouver un lieu non seulement attractif, ludique, plaisant, abrité en cas de mauvais temps, mais répondant aussi à des normes de sécurité.

Cette préparation du congrès national a généré une réunion mensuelle des membres du bureau, une réunion trimestrielle du comité organisateur, un point hebdomadaire entre les différents intervenants du comité, une réunion bimensuelle avec le médecin du centre de traitement de l'hémophilie, des rencontres trimestrielles avec les prestataires, de nombreux échanges téléphoniques, déplacements et rencontres, et surtout beaucoup de choix à faire ! Et il faut également ajouter les autres manifestations, organisées par les membres du comité pour collecter des fonds pour cette grande occasion. L'équipe construite au fil du temps, gonflée de volontaires ponctuels, présents pour une action, ou perpétuels, présents pour toute la durée de la préparation, a fait preuve jusqu'à la fin d'une énergie débordante.



Les représentants des commissions « Jeunes adultes », « Femmes », « Seniors », « Kinésithérapie » et du comité Alsace, lors de la synthèse des commissions.

Une fois le programme médical défini, le déroulé du congrès établi, il a aussi fallu penser au « ravitaillement », car comme me le dit régulièrement une personne qui m'est chère, « je ne peux pas réfléchir quand j'ai faim ! »

Le choix du cadeau de bienvenue et l'organisation de la soirée de gala furent de grands moments de plaisir. L'Alsace a été mise à l'honneur avec son folklore et ses spécialités.

■ Les journées des 12 et 13 juin

Le grand jour est enfin arrivé. Le Palais de la musique et des congrès de Strasbourg nous a accueillis ce week-end des 12 et 13 juin 2010. Chaque commission a pu bénéficier de sa propre salle pour ses rencontres. Un espace d'exposition de 1 200 m² a accueilli les exposants – des fleurs disposées entre eux donnaient un air de fête. Une salle de forum a pu recevoir nos 300 participants de manière conviviale. Un système de retransmission du son et de l'image permettait de diffuser le congrès dans l'espace exposition, ainsi les exposants restés au stand ont eux aussi pu suivre les présentations des différents intervenants.

A 9h15, le retentissement de « Bing clock¹ » a annoncé l'ouverture de la journée médicale. C'est « Bing clock » qui a assuré la gestion du temps tout au long de la journée et qui a permis un déroulé régulier, sans retard ni débordement.

1 • Logiciel de gestion du temps.



Sortie des enfants au Bioscope.



Cathy Bronner, secrétaire du comité Alsace, et Jean-Pierre Bernhard, président du comité, en habit traditionnel alsacien.

Le discours d'ouverture prononcé par Norbert Ferré, président de l'AFH, nous a rappelé l'évolution de l'association et ses convictions : « [...] Nous fêtons cette année les 55 ans de l'AFH et les 40 ans du comité Alsace. Il y a 55 ans, Henri Chaigneau fondait notre association. C'était le désert, il n'y avait rien. L'hémophilie était alors une fatalité qui s'abattait sur les familles démunies face à cette pathologie ; tout était à faire.

En 55 ans, de nombreux progrès ont été accomplis dans la prise en charge des patients hémophiles et Willebrand, par conviction que les hémophiles et les patients Willebrand ont besoin d'une AFH forte et déterminée dans son action, parce que la cause que nous défendons ne doit jamais être abandonnée. [...] »

Les Drs D'Oiron et Faradji nous ont fait part de leur expérience professionnelle en nous exposant la « **négligence du risque** » :

- ▶ Le Dr Roselyne D'Oiron est intervenue sur le thème de « L'hémophilie mineure et modérée : ses manques par le retard de diagnostic, ses conséquences liées à la méconnaissance de diagnostic ou à un diagnostic imprécis, et les améliorations à apporter ».
- ▶ Le Dr Albert Faradji nous a présenté 4 cas cliniques, lourds de conséquence ; l'expérience de patients pour lesquels le résultat des soins n'est pas à la hauteur des attentes : 2 cas dans le cadre de sujets atteints d'hémophilie A majeure, 1 cas de patient atteint d'hémophilie A mineure, 1 cas de femme conductrice d'hémophilie A majeure.

2*« Et v'là qu'on rentre avec les pieds enflés et une grande soif ! »

Le Pr Hervé Chambost nous a ensuite présenté son expérience professionnelle et a exposé des cas de « **non-observance du traitement** », pour lesquels des risques

graves se sont malheureusement concrétisés. L'adhésion du patient à la prophylaxie est essentielle et doit être encadrée par un projet d'éducation thérapeutique.

Le Pr Silla Consoli, qui domine la question de l'**éducation thérapeutique** dans une pratique quotidienne, nous a exposé son point de vue avec la simplicité et la précision qui lui sont naturels. La présentation des expériences d'ETP et les discussions ont permis de réfléchir à l'application concrète des techniques d'éducation thérapeutique pour les hémophiles et les personnes souffrant de maladies hémorragiques chroniques.

Jean-Pierre Bernhard, président du comité hôte, a assuré la dynamique du débat pour l'intervention des représentants des commissions, les échanges avec la salle et la synthèse des réponses au questionnaire « Education thérapeutique » distribué aux participants à leur arrivée.

Cette journée enrichissante a été rythmée par des interludes de jazz de La Nouvelle-Orléans, prestations du groupe « Les Célestins ». Ce groupe d'origine alsacienne a aussi annoncé le début de la soirée gala. L'Alsace était présente, là où se portaient le regard et l'oreille. « Die Elsaesser », groupe musical de folklore alsacien, a animé très joyeusement notre soirée.

Le comité Alsace a tenu à mettre en valeur, lors de cette soirée de gala, le 55^e anniversaire de l'AFH nationale et son propre 40^e anniversaire, en remettant des cadeaux aux membres présents fêtant leur 55^e ou 40^e anniversaire cette année.

Les derniers mots de la soirée étaient « Jetz gemer heime met kschwolenie fess und heissem durscht !² »... Je vous laisse méditer...

Cathy Bronner
Secrétaire du comité Alsace



Rencontre avec... l'Association éthiopienne des hémophiles

Pour ce numéro, Alain Weill, chargé des affaires européennes et internationales de l'AFH, a franchi les frontières de l'Europe et est allé à la rencontre de Tadesse Belay, pour vous faire découvrir le quotidien de l'Association éthiopienne des hémophiles.

Alain Weill *Comment êtes-vous devenu membre de l'Association éthiopienne des hémophiles (EHS) et quelles sont vos responsabilités ?*

Tadesse Belay Je suis père de trois enfants, une fille et deux garçons qui sont tous deux hémophiles A, et je suis administrateur de l'EHS. Notre premier fils est décédé suite à des hémorragies peu après sa naissance. Notre famille habitait alors à la campagne, loin de tout centre médical, sans service d'ambulance ni même d'infrastructure routière ou de téléphone. A l'âge d'un mois, notre fils a été circoncis et il est décédé le soir même. Quelques années plus tard, notre second fils est tombé malade à l'âge de 10 mois. Heureusement, nous étions alors proches d'un hôpital et un médecin est parvenu à stopper une hémorragie crânienne ; mais, face à d'autres saignements, il a envoyé notre fils à l'hôpital du Lion-Noir, à Addis-Abeba. Transfusé puis à nouveau opéré, notre bébé a survécu, et ce n'est que deux mois plus tard que les médecins nous ont donné un certificat médical recommandant qu'il habite à proximité d'une banque du sang. Grâce à ce document, notre famille a pu obtenir des autorités la possibilité de venir habiter à Addis-Abeba. C'est là que j'ai commencé à réunir d'autres familles d'enfants hémophiles pour ensuite créer l'EHS.

A. W. *Quand votre association a-t-elle été créée ?*

T. B. L'EHS a été créée en mars 2008. Elle est, en Ethiopie, la seule association de patients atteints de troubles de la coagulation, pathologies très mal connues, non seulement du public, mais aussi des autorités gouvernementales et même médicales, lorsqu'elles ne sont pas spécialisées en hématologie. Nous avons fort à faire en matière de communication dans notre pays.

Notre association compte aujourd'hui 120 membres. Proportionnellement à la population de mon pays – il y a entre 5 000 et 6 000 hémophiles en Ethiopie –, un long chemin reste à parcourir !

A. W. *Comment l'EHS est-elle organisée ?*

T. B. Nous n'avons qu'un seul bureau, dans la capitale Addis-Abeba ; aucune délégation en province. Notre association est dirigée par sept administrateurs, médecins et familles de patients. Nous espérons pouvoir ouvrir trois ou quatre centres

de traitement en province d'ici le prochain congrès mondial de Paris en 2012.

A. W. *Quelles sont vos sources de financement ?*

T. B. Le financement de notre association provient exclusivement des cotisations des membres. Faute d'avoir eu jusqu'à présent le temps de communiquer et de promouvoir notre association, nous ne disposons d'aucune subvention du gouvernement ou de l'industrie pharmaceutique.

A. W. *Quels sont les modes de traitement prescrits aux patients éthiopiens ?*

T. B. Jusqu'à très récemment, les patients n'étaient traités qu'avec du plasma congelé. Depuis une visite de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH) à l'hôpital du Lion-Noir il y a cinq mois, nous avons reçu quelques dons de facteur VIII.

A. W. *Avez-vous développé un partenariat ou un jumelage avec des associations d'autres pays ?*

T. B. Nous venons de commencer un programme de jumelage avec la Caroline du Nord (Etats-Unis), mais nous avons néanmoins besoin de soutiens financiers provenant d'associations de pays développés. Nous avons également besoin du soutien des firmes pharmaceutiques qui appuient la FMH, car nous sommes une association récente dans un pays en voie de développement.

A. W. *Comment imaginez-vous votre association dans dix ans ?*

T. B. J'espère que notre association sera puissante, bien implantée dans le pays, reconnue et soutenue par le gouvernement, les ONG et tous les Ethiopiens. Il est important que nous parvenions à ce que tous les patients disposent d'un traitement approprié et qu'ils aient accès aux soins leur permettant de mener une vie normale.

A. W. *Souhaitez-vous ajouter quelque chose ?*

T. B. Je voudrais remercier deux personnes dont le rôle est très important pour l'EHS : le Dr Amha Gebremedhin, professeur de médecine et consultant senior en hématologie, ainsi que Megan Sarson du centre de l'hémophilie australien, sans la contribution desquels notre association n'existerait pas aujourd'hui.

Un représentant de l'AFH nommé au Comité d'experts sur les maladies rares créé par la Commission européenne

Alain Weill, chargé des affaires européennes et internationales de l'AFH, a été nommé membre suppléant du Comité d'experts sur les maladies rares, créé par la Commission européenne. Ce poste permettra à l'AFH et au Consortium européen de l'hémophilie (EHC) de contribuer activement à la politique de l'Union européenne en matière de maladies rares, et de promouvoir la nécessité d'un traitement complet pour tous les patients atteints de ces pathologies.



Marion Elber
Rédactrice en chef

XXIX^e Congrès mondial de l'hémophilie à Buenos Aires



L'AFH avait délégué des représentants pour promouvoir le congrès « Paris 2012 » à Buenos Aires.

Du 10 au 14 juillet dernier s'est tenu à Buenos Aires (Argentine) le XXIX^e Congrès mondial de l'hémophilie, organisé par la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH). Dix représentants de l'AFH avaient fait le déplacement pour assister aux conférences et promouvoir la prochaine édition du congrès, qui sera organisée à Paris en 2012.

Au cours de ce congrès, de nombreux thèmes ont été abordés, et notamment l'émergence de nouveaux problèmes de prise en charge thérapeutique liés au vieillissement de la population hémophile. Le rapport que nous vous présentons ici est une synthèse de certaines mises au point ou de nouvelles approches concernant l'hémophilie et la maladie de Willebrand.

■ Nouvelles thérapies

Une des sessions très attendues était celle consacrée aux nouvelles thérapies, présentée par le Pr Claude Négrier, coordonnateur du Centre de référence de l'hémophilie et autres maladies hémorragiques constitutionnelles (CRMH). Le cycle d'évolution actuel des produits de substitution va s'enrichir à terme de produits de 4^e génération (recombinants* à demi-vie* allongée) et de 5^e génération (recombinants à demi-vie allongée et à immunogénicité* réduite). Les molécules à demi-vie allongée, toujours en voie de développement (rFVIII, rFIX, rFVIIa), ont été largement évoquées. La plupart sont des molécules « pégylées » ou « glycopégylées », ou encore des protéines de fusion (la formule liposomée semble abandonnée). Il est actuellement démontré que la pégylation* de molécules de FVIII entraîne une diminution de l'élimination du FVIII de l'organisme, par blocage de l'un de ses récepteurs, le LRP1 (Lipoprotein-Related Protein 1) responsable de sa clearance (élimination).

Parmi les nouveaux produits recombinants annoncés, on peut retenir un rFVIII produit à partir d'une lignée de cellules humaines HEK (Human Embryonic Kidneys) qui devrait présenter une moindre immunogénicité. En ce qui concerne le FIX, plusieurs produits à demi-vie allongée sont en cours de développement. Parmi ceux-ci, le rFIX-FP, qui est une protéine de fusion, et le rFIX glycopégylé N9GP. Ces nouvelles molécules de FIX devraient présenter un intérêt pour les traitements prophylactiques chez les hémophiles B avec une seule injection par semaine.

Une autre approche très intéressante concerne l'obtention d'animaux « transgéniques » (lapins, chèvres, porcs) exprimant des taux élevés de facteurs de la coagulation dans leur lait. La production de telles molécules transgéniques dans le lait de ces animaux aurait pour effet majeur d'accroître les capacités de production et d'en diminuer les coûts. Cette nouvelle approche représente un espoir pour l'avenir, l'espoir d'« un traitement pour tous ».

Parmi les multiples options thérapeutiques, ont été également évoqués les molécules hybrides (FVIII humain/FVIII porcin) et les rFVIII modifiés à immunogénicité réduite.

Enfin, un des points forts de cette session a été consacré aux Fucoidans et à leurs propriétés pro-coagulantes. Les Fucoidans sont des polysaccharides sulfatés extraits d'algues brunes (*fucus vesiculosus japonicus*) connus jusqu'à présent pour leurs propriétés anticoagulantes, mais qui, à certaines concentrations, présentent une fenêtre thérapeutique pro-coagulante (augmentation de la génération de thrombine). Une de ces molécules est en phase d'essai (BAX 513) chez l'animal. Les résultats des essais chez le chien hémophile A, par voie sous-cutanée et voie orale, sont particulièrement attendus.

■ Quel avenir pour la thérapie génique* ?

Jusqu'à présent, les essais de thérapie génique n'ont pu être effectués que chez 43 patients ; au cours de ce congrès, un certain nombre d'approches non conventionnelles ont été évoquées.

Selon le Dr Paul Monahan (Chapel Hill, Etats-Unis), il serait envisageable de réaliser le transfert du gène du FVIII ou du FIX directement au niveau des articulations. Cette introduction non vasculaire ne générerait pas de FVIII ou FIX circulant, mais pourrait assurer une hémostase locale satisfaisante, et ainsi réduire le risque de détérioration articulaire. Des essais ont été réalisés chez des souris hémophiles, en injectant le vecteur (adeno-associated virus) directement dans différentes articulations. Ces essais ont montré un effet protecteur vis-à-vis des articulations, et une bonne tolérance immunologique.

Le Dr Montgomery (Wisconsin, Etats-Unis) a rapporté les résultats d'études démontrant la co-localisation du FVIII et du vWF dans les plaquettes et la faisabilité d'une nouvelle

approche de thérapie génique basée sur l'expression intra-plaquettaire du FVIII. Des souris transgéniques ayant subi une greffe de moelle osseuse ont exprimé du FVIII intraplaquettaire (2bFVIII). Ce FVIII s'est révélé fonctionnel même en présence d'inhibiteurs* à titres élevés. Il existe également du FIX plaquettaire actif au niveau de l'hémostase, mais sans effet protecteur vis-à-vis des inhibiteurs.

Parmi les nombreuses autres interventions, on peut encore citer le rapport du Dr V. Arruda (Philadelphie, Etats-Unis), qui a proposé une thérapie alternative visant à éradiquer les inhibiteurs. Cette alternative fait appel à une thérapie génique capable d'induire une production continue du facteur déficient par injection du gène directement au niveau du foie. Dans les expériences du Dr Arruda, l'injection intra-hépatique du gène du FIX chez des chiens hémophiles a entraîné l'apparition de FIX circulant, encore détectable 8 ans après une simple injection. Cette même expérience est actuellement en cours pour l'hémophilie A (AAV-cFVIII), également chez des chiens hémophiles.

■ Inhibiteurs et immuno-tolérance (ITI)

En ce qui concerne l'apparition des inhibiteurs, l'influence des produits utilisés (produits plasmatiques et recombinants) a largement été débattue. L'incidence moindre supposée des produits plasmatiques (pdf) n'a pas été confirmée par les dernières études. Une étude internationale SIPPET (Survey of Inhibitors in Plasma-Products Exposed Toddlers) a été initiée afin de définir l'incidence exacte des inhibiteurs pour chacun de ces produits et, éventuellement, de confirmer la moindre immunogénicité des pdf (Dr Alessandro Gringeri, Milan, Italie).

Pour mieux comprendre les mécanismes d'apparition des inhibiteurs et mieux appréhender les moyens d'éradication, de nombreuses études sur des modèles animaux sont en cours. Les premiers résultats confir-

ment le rôle des cell B et T du système immunitaire et plus particulièrement le rôle des cell Treg dans les mécanismes de tolérance (rôle crucial des CD 4+CD25+Treg). Les résultats des différents registres concernant l'ITI ont été rapportés notamment par les Drs Jan Astersmark (Suède) et Di Michele (Etats-Unis). L'analyse des résultats montre des taux de succès des ITI variant de 52 % à 79 %, selon les cohortes de patients étudiées. Les études comparatives de différents protocoles utilisés pour induire une tolérance sont intéressantes, avec notamment la comparaison des régimes thérapeutiques fortes doses (200 UI*/Kg/jour) ou faibles doses (50 UI/Kg/3f/semaine). Il n'apparaît pas de différence significative en termes de succès des ITI entre fortes et faibles doses, ni dans la fréquence des infections liées à la pose de cathéter. Cependant, le délai pour l'obtention de l'ITI est plus long pour les faibles doses et le nombre de saignements intercurrents plus élevé. Néanmoins, en raison de la lourdeur des protocoles, le régime faibles doses est à considérer chez les jeunes enfants présentant un bon pronostic vis-à-vis de l'ITI. D'autre part, le bénéfice potentiel des produits contenant du facteur Willebrand a été rappelé (effet modulateur du vWD). Chez les patients résistants à l'ITI, l'addition de Rituximab (employé dans le traitement des inhibiteurs anti-VIII acquis chez les patients non hémophiles) a été rapportée, mais appelle à une certaine vigilance en raison des effets secondaires encore mal évalués.

■ Traitement prophylactique

Actuellement, la prophylaxie* primaire représente le traitement de référence pour la prévention des atteintes articulaires chez le jeune enfant, ainsi que le démontrent les résultats de l'Outcome Study. Mais certaines questions ne sont pas encore clairement résolues : quand commencer et arrêter la prophylaxie ? Quelles doses utiliser et à quelle fréquence ?

Selon le Dr V. Blanchette (Toronto, Canada), 50 % des jeunes hémophiles canadiens ayant reçu un traitement de prophylaxie primaire « par paliers » présentent des signes d'atteinte ostéoarticulaire détectables à l'IRM* à l'âge moyen de 8,8 ans. Néanmoins, en raison du faible effectif de cette cohorte (24 patients), il a été décidé de poursuivre ce type de prophylaxie pour affiner ces résultats.

De nombreux schémas thérapeutiques sont actuellement proposés et quelques études comparatives ont été rapportées à ce congrès (V. Blanchette, Canada ; E. Berntorp, Suède). Parmi celles-ci, l'étude comparant le protocole « fortes doses » de Malmö (25-40 UI/Kg tous les 2 jours pour l'hémophilie A ou 2 fois par semaine pour l'hémophilie B, âge ≤ à 2 ans et avant la 2^e hémarthrose) et le protocole néerlandais (Dutch Study), dit « doses intermédiaires » (15-25 UI/Kg 3 fois/semaine (HA) et 30 à 50 UI /Kg 2 fois/semaine (HB)), initié tôt dans la vie mais en

Norbert Ferré et le Dr Saulius Butenas lors de la remise du prix Henri Chaigneau 2010.



Remise du prix Henri Chaigneau 2010

Le 14 juillet dernier, lors de la cérémonie des Awards de la Fédération mondiale de l'hémophilie, Norbert Ferré, président de l'AFH, a remis le prix Henri Chaigneau 2010. Le prix a été accepté par le Dr Saulius Butenas au nom du Dr Kenneth G. Mann, récompensé pour ses travaux sur les thérapies de l'hémophilie*.

M. E.

*Lire la revue n° 190 page 14.

fonction du contexte clinique (en général après la 2^e hémarthrose). L'analyse des résultats est le centre de nombreux débats. D'après les résultats basés sur les scores radiologiques de Pettersson, il n'existe pas de différence significative entre les 2 protocoles, mais le protocole fortes doses des Suédois semble avoir un effet plus protecteur. L'apport d'une imagerie médicale plus performante pourrait modifier ces interprétations.

La question de l'arrêt de la prophylaxie reste encore posée, néanmoins le traitement prophylactique doit certainement être maintenu jusqu'à l'âge adulte. Chez certains sujets seniors, il peut être recommandé d'instaurer un traitement prophylactique en raison du risque d'ostéoporose et, donc, de chutes ou de fractures. Au total, la prophylaxie est plus effective si elle est démarrée tôt dans la vie avec un effet protecteur estimé à 70 % pour un âge \leq à 2 ans et avant la 2^e hémarthrose, contre 30 % si elle est démarrée après au moins 3 accidents articulaires.

La mise à disposition de nouveaux concentrés a permis de proposer des protocoles de traitement prophylactique pour les patients atteints de la maladie de Willebrand (types 1, 2 ou 3). Une étude internationale VWD PN (Von Willebrand Disease Prophylaxis Network), initiée en 2006, a eu pour but d'assurer la surveillance de 102 patients soumis à une telle thérapeutique (74 % de type 3) et de permettre d'adapter le traitement prophylactique en fonction du type de saignement (épistaxis*, ménorragies...).

■ Imagerie médicale et arthropathie hémophilique

En ce qui concerne les progrès de l'imagerie médicale, avec notamment l'apport de l'ultrasonographie (échographie) articulaire (Dr Andrea Doria, Toronto, Canada), il apparaît actuellement que seule l'IRM peut visualiser de façon précoce des modifications à l'intérieur des cartilages. Les atteintes articulaires sont évaluées en scores IRM, compatibles avec les scores radiologiques de Pettersson. L'ultrasonographie, plus accessible, permet de détecter la présence de sang au niveau articulaire et des tissus mous. A terme, grâce à de nouvelles techniques d'imagerie encore plus performantes, il sera possible de prédire le degré de dégradation du cartilage et, donc, de proposer un régime prophylactique encore mieux adapté.

■ Hémophilie et agents pathogènes (hépatite C)

Le traitement de base de l'hépatite C (VHC) associe l'Interféron* pégylé* 2a ou 2b à un analogue nucléosidique : la Ribavirine. Le VHC est connu pour se répliquer dans les hépatocytes*, mais il peut aussi se répliquer dans des sites extra-hépatiques avec un taux de mutation du gène extrêmement élevé. Une polythérapie est donc préconisée pour une meilleure éradication de ce virus, qui associerait au tandem Interféron-Ribavirine un inhibiteur d'une des cibles du cycle viral (anti-protéase, antiplymérase, inhibiteur de la cyclophiline B, NS5a inh...). Deux anti-protéases sont actuellement en phase III d'essais cliniques, le Telaprevir et le Bocepravir (Dr V. Ragni Pittsburgh, Etats-Unis).

■ Hémophilie et vieillissement de la population

Les progrès dans la prise en charge de l'hémophilie ont eu pour conséquence une augmentation très importante de l'espérance de vie, actuellement supérieure à 65 ans dans les pays les plus favorisés. Avec le vieillissement de la population hémophile,

apparaissent des complications liées à l'âge, identiques à celles observées dans la population générale (cataracte, problèmes prostatiques, cancers, ostéoporose, maladies cardiovasculaires, AVC...) (Dr G. Golan, Nottingham, Grande-Bretagne). La prise en charge de ces pathologies est nouvelle pour la plupart des thérapeutes. Actuellement, il n'existe pas de recommandation consensuelle et il devient urgent d'établir des protocoles bien codifiés pour chaque type de pathologie. En ce qui concerne la pathologie cardiovasculaire (insuffisance coronarienne, pathologie valvulaire, fibrillation atriale...), la prise en charge est particulièrement délicate chez les hémophiles car ces pathologies font généralement appel à des traitements antithrombotiques. La prévalence des risques cardiovasculaires chez les hémophiles est mal connue, mais il semblerait que l'hypocoagulabilité due au déficit en FVIII ou FIX joue un rôle dans la prévention des thromboses (elle pourrait avoir un effet au niveau de la formation et de la structure du thrombus) ; par contre, son éventuel effet dans le développement de l'athérosclérose reste à établir.

La chirurgie cardiovasculaire et les examens invasifs sont possibles (après substitution) chez les hémophiles, mais l'équilibre précaire entre saignement et thrombose doit être largement discuté. En ce qui concerne l'anticoagulation post-interventionnelle, il apparaît que les anti-plaquettaires sont utilisables sous certaines conditions et que l'aspirine à faibles doses (\leq à 100 mg par jour) est préférable aux AVK (ces anticoagulants nécessiteraient une substitution très importante et au long cours). Les facteurs de risque cardiovasculaire (hypertension, hypercholestérolémie, obésité et diabète) doivent faire l'objet d'une surveillance soutenue chez l'hémophile âgé.

En ce qui concerne les pathologies associées au vieillissement de la population hémophile, toutes les recommandations évoquées lors de ce congrès sont des propositions d'attitudes thérapeutiques reposant sur des données de la littérature, dans l'attente de données plus consensuelles.

Beaucoup d'autres thèmes ont été abordés au cours de sessions simultanées concernant notamment les hémophilies modérées, les autres déficits de la coagulation, les nouvelles techniques de laboratoire et bien entendu, une large part a été réservée aux apports de la chirurgie orthopédique et de la rééducation fonctionnelle.

Anne-Marie Berthier

Membre du conseil scientifique de l'AFH

Un représentant de l'AFH élu au bureau exécutif de la FMH



L'assemblée générale de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH), tenue le 15 juillet dernier à Buenos Aires, a élu Thomas Sannié, chargé de la santé publique de l'AFH, au bureau exécutif de la fédération, dont le siège se trouve à Montréal.

Cette élection récompense l'expertise de Thomas Sannié dans les dossiers de santé publique, dont il a fait bénéficier la communauté hémophile. Elle marque en outre la reconnaissance internationale des actions de l'AFH.

M. E.

Promotion du Congrès mondial « Paris 2012 »



Comme vous le savez déjà, l'AFH a été choisie à une large majorité des voix comme association organisatrice du prochain Congrès mondial de l'hémophilie, qui se tiendra à Paris du 8 au 12 juillet 2012¹. Moins de deux ans nous séparent maintenant de ce grand événement !



L'AFH avait installé un stand de promotion pour le congrès « Paris 2012 ».

Une délégation de l'AFH a été envoyée à Buenos Aires² pour aller à la rencontre des congressistes et promouvoir le congrès « Paris 2012 ». Plus de 4 300 participants originaires de 106 pays ont visité le stand de l'AFH et ont été invités à nous rejoindre à Paris en 2012. Le stand, décoré aux couleurs de la France, a remporté un franc succès auprès des congressistes, notamment grâce aux informations sur Paris, aux tombolas organisées et aux croissants distribués chaque jour.

Norbert Ferré, président de l'AFH, a prononcé un discours officiel lors de la cérémonie de clôture du congrès de Buenos Aires, au cours duquel il a rappelé que l'intégralité des bénéfices du congrès mondial 2012 revenant au pays hôte serait affectée au financement des partenariats internationaux, perpétuant ainsi l'objectif de la Fédération mondiale de l'hémophilie « *Treatment for all* !³ ».

La prochaine étape de l'organisation du congrès est la réunion des différentes commissions de travail. Les premières réunions auront lieu à Montréal les 6 et 7 novembre prochains, puis à Paris en février 2011.

Marion Elber
Rédactrice en chef



Carlos Marquez, président de l'Association argentine des hémophiles, Mark Skinner, président de la FMH, et Norbert Ferré, président de l'AFH, lors du dîner de clôture du congrès de Buenos Aires.

1• Lire les revues n° 181 page 2, n° 183 pages 11 et 12 et n° 188 page 9.

2• Avec le soutien de Baxter, Bayer Schering Pharma et CSL Behring.

3• « Un traitement pour tous ! »

LEXIQUE

Demi-vie : temps nécessaire pour que la moitié d'une substance introduite dans l'organisme en soit éliminée. Concernant le traitement de l'hémophilie, la demi-vie est calculée en mesurant le temps au cours duquel le taux plasmatique du facteur injecté est, par exemple, égal à 50 % du taux dosé après l'injection.

Epistaxis : hémorragie extériorisée par les fosses nasales, appelée communément « saignement de nez ».

Hépatocyte : cellule du foie sécrétant des substances dans le sang et dans le tube digestif.

Immunogénicité : capacité à induire la formation d'un anticorps.

Inhibiteur : anticorps produit par le système immunitaire du patient, dirigé contre le facteur injecté pour traiter l'hémophilie.

Interféron : substance de l'organisme dotée de propriétés antivirales, anticancéreuses et modulatrices du fonctionnement immunitaire.

IRM : imagerie par résonance magnétique.

Pégylation : réaction organique permettant d'augmenter la demi-vie d'une molécule thérapeutique en la liant au polyéthylène glycol (PEG).

Produit recombinant : médicament antihémophilique issu du génie génétique, à l'inverse du produit plasmatique, issu du sang.

Prophylaxie : démarche thérapeutique visant, dans le cas de l'hémophilie, à prévenir les accidents hémorragiques par des injections régulières et systématiques de facteur antihémophilique.

Thérapie génique : manipulation génétique destinée à traiter une maladie en transformant pour le normaliser le capital génétique d'un patient. Dans le cas de l'hémophilie, on vise à introduire des portions des gènes des FVIII ou FIX chez le patient.

UI : unité internationale.

Patient sentinelle, des patients au secours de la santé

Un programme de recherche original, financé par le Conseil régional d'Ile-de-France

A travers le programme de recherche « Patient sentinelle », l'AFH entend démontrer l'intérêt d'une éducation thérapeutique à la gestion précoce des accidents hémorragiques pour et par les patients hémophiles.

En collaboration avec l'ensemble des centres de traitement de l'hémophilie (CTH) franciliens et le Laboratoire d'éducation à la santé de l'université Paris-13, l'AFH promeut la mise en place d'un modèle de participation active et solidaire des patients à l'amélioration de l'état de santé de leurs pairs.

Ce programme de recherche comprend plusieurs étapes. Il a commencé en septembre 2010 par des entretiens individuels avec des hémophiles suivis en Ile-de-France, âgés de 12 à 60 ans et pratiquant l'autotraitement. Une fois ces entretiens recueillis, il sera nécessaire :

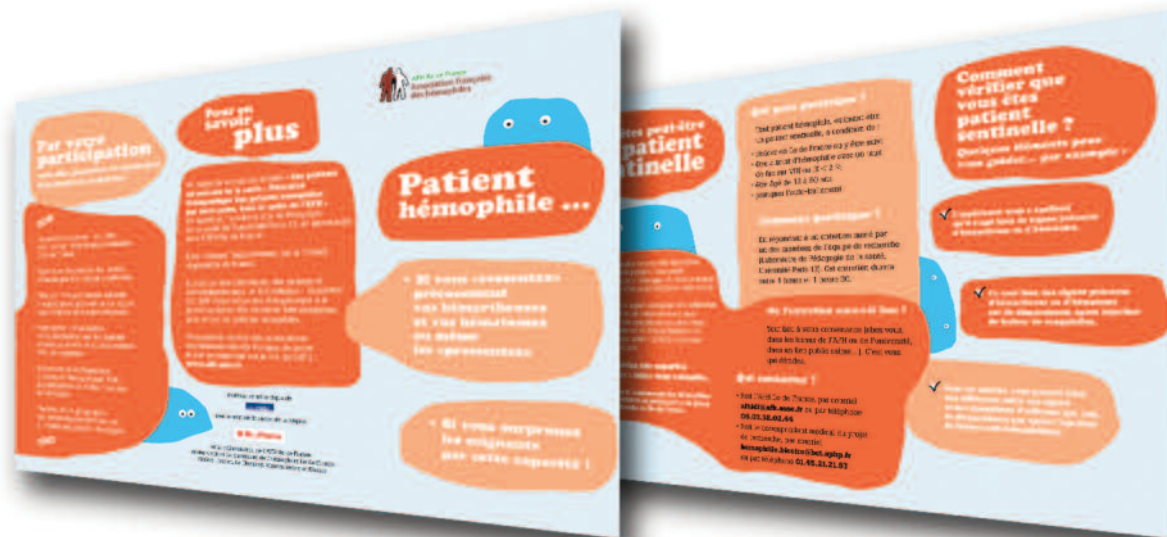
- ▶ d'analyser le vocabulaire personnel développé par les patients atteints d'hémophilie capables de ressentir précocement leur hémarthrose et même de la pressentir. Ces patients sont dits « sentinelles » ;
- ▶ d'élaborer, de mettre en œuvre et d'évaluer, en collaboration avec les soignants, un programme d'éducation thérapeutique du patient (ETP)¹ destiné aux personnes hémophiles, animé par des Patients ressource² hémophiles préalablement formés ;
- ▶ de transférer ce savoir aux hémophiles d'autres régions de France et à d'autres pathologies chroniques pour lesquelles la détection précoce de symptômes est d'une importance vitale : diabète, asthme, épilepsie.

La participation des associations de patients, par l'intermédiaire de Patients ressource, à cette éducation constituera une étape historique dans l'alliance thérapeutique soignant-soigné et préfigure de nouvelles formes de citoyenneté de santé. Ce partenariat trouve sa légitimité dans le transfert d'une expertise, validée par la recherche, du patient vers ses pairs.

1 • Lire l'article pages 22-23.

2 • Un Patient ressource est un patient hémophile confronté régulièrement à l'autotraitement, qui met son expérience au service d'autres patients, dans le cadre de l'ETP. Lire la revue n° 187 page 3.

Thomas Sannié
Chargé de la santé publique et de l'ETP
Président du comité Ile-de-France



Le comité Ile-de-France de l'AFH a publié un dépliant sur le Patient sentinelle, disponible sur le site Internet de l'association.

- ▶ Pour participer à ces entretiens, vous pouvez contacter :
Tél. : 06 07 38 02 44 – E-mail : afhidf@afh.asso.fr
- ▶ Pour en savoir plus, vous pouvez consulter le site Internet de l'AFH : www.afh.asso.fr

Journée d'information destinée aux médecins gynécologues

« Maladie de Willebrand et ménorragies »

Le point de vue médical avec le Dr Marie Dreyfus, Centre hospitalier universitaire (CHU) Bicêtre (Kremlin-Bicêtre), CRMW¹; les Dr Catherine Boyer-Neumann, Dr Edith Fressinaud, Pr Agnès Veyradier, CHU Antoine-Béclère (Clamart), CRMW ; et le Dr Catherine Duflos, CHU Necker (Paris), CR-PGMCR².

Le 5 juin 2010, la commission « Willebrand » de l'AFH³, en partenariat avec le CRMW et le CR-PGMCR, a organisé à Paris une journée d'information à destination des médecins gynécologues d'Ile-de-France sur le thème « Maladie de Willebrand et ménorragies ». Le Pr Agnès Veyradier présente ici le résumé médical de cette manifestation.

Introduction

La maladie de Willebrand (MW) est une maladie hémorragique héréditaire de transmission autosomale, le plus souvent dominante (les hommes et les femmes peuvent être atteints), décrite pour la première fois en 1926. La MW se manifeste par des hémorragies de la peau et des muqueuses (ecchymoses, saignements de nez appelés épistaxis, saignements des gencives ou gingivorragies, hémorragies du tube digestif et, chez les femmes, saignements de la muqueuse utérine se traduisant par des règles abondantes ou ménorragies et par des hémorragies de la délivrance lors de l'accouchement). Les hémorragies peuvent également être provoquées par des interventions chirurgicales (avulsion dentaire, adénoïdectomie et amygdalectomie).

La MW regroupe plusieurs types liés au type de déficit en facteur Willebrand (FW), une protéine cruciale pour l'hémostase primaire c'est-à-dire pour la formation du clou plaquettaire après une brèche

vasculaire : le type 1, le plus fréquent, est défini par un déficit quantitatif partiel en FW ; le type 2 (environ 7 000 patients en France) est défini par un déficit qualitatif en FW (le taux de FW est normal ou subnormal, mais le FW n'est pas fonctionnel) ; le type 3, le plus rare (50 à 100 patients en France), est défini par un déficit quantitatif total en FW.

Le diagnostic de la MW est clinique (interrogatoire et examen physique) et surtout biologique, réalisé au sein des consultations d'hémostase des centres hospitaliers. Mais la caractérisation du type fait appel à des tests de laboratoire spécialisés, dont la prestation est assurée en France par le CRMW. Le CRMW comprend 5 sites géographiques impliquant des CHU (Clamart, Bicêtre, Lille, Nantes et Caen), et il a été labellisé en 2006 par le Plan national maladies rares (PNMR).

Le traitement de la MW repose sur deux grands principes : d'une part, la Desmopressine* ou dDAVP* administrable par voie intraveineuse ou intranasale (efficace seulement chez certains

1•CRMW : Centre national de référence de la maladie de Willebrand.
2•CR-PGMCR : Centre national de référence des pathologies gynécologiques médico-chirurgicales rares.
3•Avec le soutien de LFB Biomédicaments.



patients et dans certaines conditions) ; d'autre part, le traitement substitutif à base de concentrés de FW purifié à partir du plasma humain (efficace dans tous les types de MW mais réservé aux patients pour lesquels la dDAVP est inopérante ou contre-indiquée, ou dans les situations présentant un risque hémorragique vital et/ou prolongé).

La journée du 5 juin 2010 a été consacrée exclusivement à la problématique des ménorragies chez les jeunes filles et les femmes atteintes de MW. La prévalence des ménorragies est effectivement très importante dans la MW, allant de 74 à 92 % selon les études (*Kadir et al, Haemophilia 1999*). Ont successivement été traités puis illustrés par des cas cliniques lors de cette journée d'information : le problème des ménorragies à la puberté, la prise en charge des ménorragies chez la femme atteinte de MW en période d'activité génitale, et la prise en charge des ménorragies chez la femme atteinte de MW plus âgée qui n'est plus en âge de procréer.

Prise en charge des ménorragies chez les jeunes filles atteintes de MW à la puberté

Chez les jeunes filles atteintes d'une maladie constitutionnelle de l'hémostase, la puberté est une période critique car l'apparition des premières règles est associée, dans les formes les plus graves, à un risque maximum de saignement pouvant nécessiter une hospitalisation et des transfusions sanguines. En outre, les ménorragies sont associées à une altération de la qualité de vie et à un absentéisme scolaire. Afin d'éviter ces écueils, il est donc capital d'anticiper les premières règles chez les jeunes filles atteintes de MW en suivant l'évolution pubertaire grâce à l'examen clinique et échographique. L'information donnée à l'adolescente et à ses parents est cruciale : insister sur l'importance d'une prise en charge précoce, fournir l'ordonnance des traitements recommandés, remettre une liste d'explications sur la conduite à tenir, limiter les activités sportives pendant la durée des règles, demander que le gynécologue soit prévenu dès le début des règles afin d'en suivre l'évolution, avoir un taux d'hémoglobine au 1^{er} jour des règles qui servira de référence en cas de déglobulisation importante.

Les outils thérapeutiques reposent sur l'acide tranexamique*, les pilules œstroprogestatives ou encore les progestatifs* utilisés du 14 ou du 16^e au 25^e jour du cycle. Pour chaque ado-

lescente, le schéma thérapeutique est à mettre en place et à adapter en concertation avec le gynécologue et l'hématologiste. Le suivi gynécologique montre souvent une amélioration avec le temps, mais l'efficacité d'un traitement n'est jamais acquise définitivement. Il est donc très important d'observer une surveillance gynécologique rapprochée afin de pouvoir réagir rapidement en cas d'échappement au traitement. En ce qui concerne le traitement de la dysménorrhée (douleurs abdomino-pelviennes menstruelles), les anti-inflammatoires non stéroïdiens sont contre-indiqués car ils majoritent le risque de saignement. La surveillance gynécologique de la jeune fille implique aussi un examen de l'orifice hyménéal* et l'information sur le port de tampons périodiques, afin de tenter de prévenir un saignement lors des premiers rapports sexuels.

Prise en charge des ménorragies chez la femme atteinte de MW en période d'activité génitale, sans ou avec désir de grossesse

En l'absence de désir de grossesse :

a. **L'acide tranexamique**, agent anti-fibrinolytique, reste prescrit en première intention chez les femmes qui ne souhaitent pas de contraception, avec un schéma classique de 1 g 3 à 4 fois par jour les 5 premiers jours des règles. Administré per os (comprimés ou ampoules buvables), il est peu coûteux et a montré, dans des essais cliniques randomisés, une réduction d'environ 50 % du volume du flux menstruel. Il peut y avoir des effets secondaires (nausées, céphalées, vertiges...), mais 70 % des femmes chez lesquelles il s'est avéré efficace poursuivent le traitement.

b. Les pilules œstroprogestatives

Contraceptives créant des cycles anovulatoires, elles diminuent le flux menstruel en induisant une hypoplasie* de l'endomètre* et ont aussi l'avantage de régulariser le cycle menstruel et de diminuer les dysménorrhées* et le syndrome prémenstruel. Les essais cliniques randomisés prouvant l'efficacité dans les ménorragies ont été conduits avec les pilules dosées à 30γ d'éthinyl œstradiol (ou à 50γ, mais celles-ci sont exceptionnellement prescrites au long cours, en raison du risque d'adénome hépatique). La tolérance est généralement bonne. L'acide tranexamique peut être associé durant les premiers jours des règles pour une meilleure efficacité.

Le Dr Edith Fressinaud et le Pr Agnès Veyradier, lors de la journée d'information du 5 juin 2010.



Des représentants de l'AFH étaient présents pour organiser la manifestation.



c. Le dispositif intra-utérin au lévonorgestrel

Ces dispositifs distillent du lévonorgestrel dans la cavité utérine, entraînant une atrophie de l'endomètre et une contraception fiable. Il faut noter que les cycles restent ovulatoires le plus souvent, ce qui fait que, contrairement aux pilules œstroprogestatives, ils ne préviennent pas la survenue de kystes ovariens fonctionnels hémorragiques. Ils entraînent une réduction très significative du volume des règles (de 74 % à 3 mois et de 97 % à 6 mois) et sont aussi efficaces chez les femmes avec troubles de l'hémostasie (Kingman et al, BJOG 2004). L'effet indésirable le plus fréquent est un saignement irrégulier les premiers mois suivant l'insertion. Il est recommandé, sauf dans les formes mineures de MW, de recourir lors de sa mise en place à un traitement corrigeant le trouble de l'hémostasie (Desmopressine ou FW humain purifié).

d. Les progestatifs cycliques oraux

Prescrits pendant la phase lutéale* du 14 ou 16^e jour au 25^e jour du cycle, ils n'entraînent pas de réduction du volume du flux menstruel. Prescrits pendant 21 jours à partir du 5^e jour, ils réduisent le volume des règles, mais ce traitement est surtout envisagé chez la femme qui n'est plus en âge de procréer.

S'il y a un désir de grossesse :

Les traitements hormonaux contraceptifs ne peuvent pas être utilisés, et seuls les traitements dits « hémostatiques », c'est-à-dire ayant une action correctrice sur le trouble de l'hémostasie, sont discutés.

a. L'acide tranexamique, s'il n'a pas d'action correctrice directe sur le déficit en facteur Willebrand, a une action indirecte bénéfique

sur l'hémostasie. Il peut donc être prescrit seul, ou associé si nécessaire aux autres traitements hémostatiques.

b. La Desmopressine (dDAVP), qui induit à partir du lieu de synthèse une libération dans le sang du FW endogène dans certaines formes de MW, peut être utilisée chez les femmes pour lesquelles ce médicament s'est avéré efficace. C'est la forme administrable par voie intranasale qui est utilisée. Cependant, plusieurs études ont montré que la forme intranasale utilisée seule le 1^{er} et le 2^e jour des règles n'entraînait pas de réduction significative du volume du flux menstruel mesuré sur tout le cycle, et était moins efficace que l'acide tranexamique seul. L'association de dDAVP et d'acide tranexamique est efficace, mais une étude indique 45 % d'abandon en raison d'effets secondaires. Le risque de rétention d'eau liée à la Desmopressine est particulièrement élevé lors des règles, et sa prescription doit s'accompagner de recommandations sur la nécessité de restriction hydrique concomitante.

c. Le facteur Willebrand humain purifié

L'apport de FW exogène est le traitement de recours en cas d'inefficacité de l'acide tranexamique chez les femmes qui ne répondent pas à la Desmopressine et lorsqu'il y a un désir de grossesse. Les ménorragies relèvent alors d'un traitement prophylactique. Un protocole international (Berntorp and Abshire, J Thromb Haemost 2006) recommande le schéma suivant : injection intraveineuse de 50 UI/kg le 1^{er} jour des règles (niveau 1) ; en cas d'efficacité insuffisante, 50 UI/kg les 2 premiers jours des règles (niveau 2) ; en cas d'efficacité insuffisante, 50 UI/kg les 3 premiers jours des règles (niveau 3). Il est recommandé d'associer l'acide tranexamique s'il est bien toléré.

Ainsi, un désir de grossesse qui va modifier la prise en charge des ménorragies nécessite une consultation préalable avec l'hématologiste et l'équipe de gynécologie-obstétrique. Une obtention rapide de la grossesse est préférable, et il faudra mettre en place un suivi multidisciplinaire visant à prévenir une hémorragie de la délivrance ou lors du retour de couches.

Prise en charge des ménorragies chez la femme atteinte de MW plus âgée

Chez les femmes atteintes de MW qui ne sont plus en âge de procréer, la prise en charge des ménorragies s'affranchit bien entendu de la volonté de préserver la fertilité. Le traitement à court terme est essentiellement hémostatique : acide tranexamique pendant les 5 premiers jours des règles, éventuellement associé à la dDAVP en cas de bonne réponse. Dans cette tranche d'âge, il est important de souligner l'importance de l'évaluation parallèle d'éventuels facteurs de risque cardiovasculaires

qui peuvent constituer une contre-indication à ces molécules. En cas d'hémorragie aiguë déglobulisante, le traitement substitutif par concentrés de FW reste un recours.

Le traitement à long terme fait appel en première intention au traitement hormonal reposant sur des progestatifs cycliques oraux ou sur des dispositifs intra-utérins au lévonorgestrel. En cas d'échec, la thérapie utérine par ballonnet chauffant est une option intéressante. En cas d'échec des traitements précités ou s'il existe une pathologie organique associée, l'option chirurgicale (hystérectomie) est alors indiquée. Dans tous les cas, il est capital de souligner la nécessité d'une prise en charge multidisciplinaire et l'importance du respect du confort de vie des patientes.

Pr Agnès Veyradier

CHU Antoine-Béclère de Clamart

Coordonnatrice du Centre national de référence de la maladie de Willebrand

REFERENCES BIBLIOGRAPHIQUES

Kadir RA, Economides DL, Sabin CA, Pollard D, Lee CA. *Assessment of menstrual blood loss and gynaecological problems in patients with inherited bleeding disorders*. Haemophilia 1999; 5: 40-8.

Kingman CE, Kadir RA, Lee CA, Economides DL. *The use of levonorgestrel-releasing intrauterine system for treatment of menorrhagia in women with inherited bleeding disorders*. BJOG 2004; 111: 1425-8.

Berntop E, Abshire T, von Willebrand Disease Prophylaxis Network Steering Committee. *The von Willebrand disease prophylaxis network: exploring a treatment concept*. J Thromb Haemost 2006; 4: 2511-2.

LEXIQUE

Acide tranexamique : dérivé synthétique de la lysine visant une inhibition de la dissolution du caillot, appelée fibrinolyse.

Desmopressine ou dDAVP : dérivé synthétique d'une hormone naturelle élevant le taux de facteur VIII et de facteur Willebrand.

Dysménorrhée : menstruation difficile et douloureuse.

Endomètre : muqueuse qui tapisse la cavité utérine.

Hyménéal : relatif à l'hymen de la femme.

Hypoplasie : arrêt du développement ou développement insuffisant d'un tissu ou d'un organe.

Phase lutéale : phase se situant après l'ovulation et jusqu'au dernier jour du cycle ovarien. La phase lutéale est suivie de la menstruation.

Progestatif : substance qui favorise le processus de la grossesse ou produit des effets similaires sur l'organisme.

La journée du 5 juin 2010

Notre journée d'information des gynécologues à la maladie de Willebrand s'est déroulée le 5 juin 2010, et à notre grand soulagement elle a été couronnée de succès. Une trentaine de médecins gynécologues étaient inscrits, malgré quelques défections de dernière minute, et les médecins présents ont été très contents de cette journée. Ils ont promis de relayer l'information auprès de leurs collègues. Un journaliste représentant la presse médicale spécialisée en gynécologie était également présent.



Après un accueil autour d'un petit-déjeuner, Norbert Ferré, président de l'AFH, a introduit la manifestation en évoquant les échanges de la « médica-liste » Willebrand qui nous ont conduits à organiser cette journée, ainsi que l'importance de faire connaître cette pathologie à des praticiens de ville non spécialistes de la maladie. Il a également chaleureusement remercié toutes les personnes engagées dans ce projet.

Le Pr Agnès Veyradier a ensuite présenté un exposé sur la maladie de Willebrand, reprenant l'historique depuis la découverte de la maladie jusqu'aux traitements actuels, en détaillant bien sûr les différents types de cette pathologie.

Cet exposé a été suivi par celui du Dr Catherine Duflos, portant sur les ménorragies à la puberté pour des patientes diagnostiquées et non diagnostiquées, ainsi que sur les conduites à tenir, notamment en terme de sensibilisation à la recherche d'une possible maladie de Willebrand, peut-être à l'origine des ménorragies constatées. L'exposé du Dr Duflos a été complété par celui du Dr Marie Dreyfus d'un point de vue hématologique.

Après la pause déjeuner, où chacun a pu continuer d'échanger, les exposés ont repris et se sont axés sur deux points :

- ▶ les ménorragies chez une patiente en période d'activité génitale avec ou sans désir de grossesse, par le Dr Edith Fressinaud ;
- ▶ les ménorragies chez une patiente plus âgée et notamment au moment de la ménopause, par le Dr Catherine Boyer-Neumann, avec pour ces deux exposés une présentation de plusieurs cas cliniques.

Pour conclure, le Pr Veyradier a insisté sur la qualité des nombreux échanges qui ont témoigné de l'intérêt des médecins présents pour cette pathologie peu connue, et sur l'importance de s'adresser sans hésitation aux hématologistes des Centres de référence pour des cas qui pourraient poser question.

Nous adressons un très grand merci à toutes les personnes qui se sont engagées à nos côtés dans la réalisation de ce projet :

- ▶ le Pr Veyradier, les Drs Duflos, Dreyfus, Fressinaud et Boyer-Neumann des Centres de référence (maladie de Willebrand et pathologies gynécologiques médico-chirurgicales rares) ;
- ▶ le président, les bénévoles et les salariés de l'AFH ;
- ▶ nos collègues et amies de la commission « Willebrand » : Bertie Gaven, Laurie Duprat, Misha Prout, qui ont été des hôtes hors pair.

Nous espérons que cette journée aura permis de présenter la maladie de Willebrand à des médecins hors des cercles de spécialistes, pour atteindre un de nos objectifs essentiels : l'information. Cette journée d'information a vocation à être renouvelée dans d'autres régions de France.

Jeannine Klein et Marie-Anne Olivier
Membres de la commission « Willebrand »



Observatoire sur les droits des malades

Les principaux questionnements des patients...

La 3^e édition de l'*Observatoire sur les droits des malades* publié par le Collectif interassociatif sur la santé (CISS) s'appuie sur près de 6 000 sollicitations traitées par les écoutants de Santé info droits. Nous vous présentons ici les principales problématiques de santé abordées par les patients, et plus particulièrement par les patients hémophiles.



Droit des usagers : une thématique primordiale pour les patients

Le droit des usagers du système de santé est la première thématique abordée par les appelants de Santé info droits¹. Par « droits des usagers du système de santé », il faut entendre les droits reconnus par la loi n°2002-303 du 4 mars 2002 relative aux droits des malades et à la qualité du système de santé. Ils regroupent non seulement de nombreux droits individuels tels que le droit à l'information sur son état de santé ou celui de se voir réparer un préjudice subi à la suite d'un accident médical, mais également des droits collectifs tels que la possibilité de siéger et de représenter ses pairs dans chaque établissement de santé au sein de multiples instances, comme par exemple les Commissions des relations avec les usagers et sur la qualité de la prise en charge.

Dans ce contexte, Santé info droits est sollicité à diverses occasions : non-respect des droits individuels par les professionnels, demandes d'information sur les recours à mener par les victimes d'erreurs médicales, d'infections nosocomiales ou d'affections iatrogènes, recherche des dispositions applicables en matière de représentation des usagers.

Les questions liées à l'indemnisation du virus de l'hépatite C

Parmi les appels concernant le droit des usagers du système de santé, 43,5 % interrogent Santé info droits sur des questions liées à la responsabilité médicale, notamment pour les contentieux et démarches amiables. Les patients hémophiles sont tout particulièrement sensibles à la question de l'indemnisation des victimes contaminées par le virus de l'hépatite C (VHC)².

Avant 1992 (date à partir de laquelle le sang et les pro-

duits sanguins ont fait systématiquement l'objet d'un dépistage du virus de l'hépatite C), des contaminations par le VHC ont eu lieu lors de transfusions sanguines. Jusqu'à présent, les victimes de ces contaminations devaient engager la responsabilité de l'Etablissement français du sang (EFS), organisme public, devant le tribunal administratif par l'intermédiaire d'un avocat, en ayant au préalable demandé une copie de leur dossier médical et sollicité une enquête transfusionnelle auprès de ce même EFS. La loi de financement de la Sécurité sociale 2009 a permis une véritable avancée en la matière, puisqu'elle a confié à l'Office national d'indemnisation des accidents médicaux (ONIAM) la charge d'indemniser les victimes de contamination par le VHC, comme l'ONIAM en a déjà la compétence pour l'indemnisation des préjudices liés à des contaminations par le virus de l'immunodéficience humaine (VIH) ou par des vaccinations obligatoires.

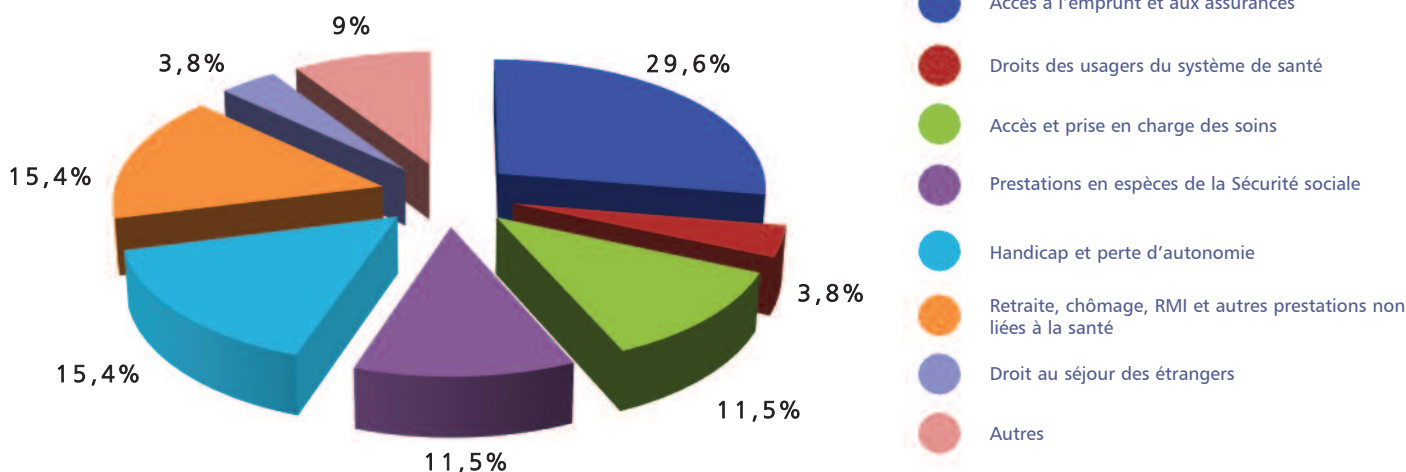
Les appels sur le sujet mettent particulièrement en exergue les questions de la prescription de l'action, de la durée de conservation des archives médicales et de la lenteur des procédures.

Accès à l'emprunt et aux assurances : la principale préoccupation des patients hémophiles

Parmi les appels reçus par le service Santé info droits, les sollicitations de patients hémophiles ayant souhaité identifier leur maladie ne représentent que 22 appels en 2009. On peut noter que la question de l'accès à l'emprunt et aux assurances arrive au 1^{er} rang des questions les plus fréquemment posées par les patients hémophiles, suivie de celle des retraites, du chômage, du handicap et de la perte d'autonomie.

¹ Lire les revues n° 185 page 19, n° 186 page 20, n° 187 page 20 et n° 188 page 18.
² Lire l'article page 3.

Répartition des appels des patients hémophiles par thématique



En matière d'accès aux prêts et à l'assurance, les sollicitations sur la ligne relèvent, pour deux tiers d'entre elles, de demandes d'informations souvent exprimées en amont du projet financier, ce qui constitue, conformément aux engagements contenus dans la convention AERAS³, un des moyens de concourir largement à une mission d'information vis-à-vis des candidats à l'emprunt concernés par un risque aggravé de santé.

Sur la totalité des patients ayant interrogé Santé info droits, environ un tiers font apparaître de réelles difficultés quant à l'accès à l'emprunt et à l'assurance. Le contenu des demandes rappelle qu'il convient d'être vigilant sur la communication publique autour de la convention AERAS, afin qu'elle ne soit pas présentée à tort comme ouvrant un droit à l'assurance.

« Je souhaite faire un emprunt, avec mon mari, de 122 000 euros sur 25 ans. On a 30 et 37 ans. On a fait des demandes d'assurance auprès de plusieurs assureurs, nous n'avons obtenu que des refus ! Ils appliquent le principe de précaution, car mon mari souffre d'une maladie rare qui n'est pas connue. Je croyais que la discrimination était interdite en France.... »
Témoignage d'une patiente sur la difficulté d'accès aux prêts et assurances.

Il est nécessaire de rappeler deux points :

- En l'espèce, le cadre juridique reste très favorable aux assureurs. En effet, au contraire de ce que prévoit généralement le Code pénal en matière de sanction pour le refus de délivrance de biens ou de services fondés sur des motifs discriminatoires, les assureurs et les organismes financiers peuvent légalement refuser des candidats à l'assurance pour des motifs liés à leur état de santé.
- Cette possibilité – exorbitante au regard du droit commun, mais qui trouve ses sources dans la mécanique même de l'assurance fondée sur la sélection des risques –

impose de trouver des aménagements ne laissant pas de côté les personnes considérées par les assureurs comme un « risque aggravé ». Tel était donc l'enjeu du processus conventionnel ayant abouti à la convention AERAS. L'examen des appels reçus sur la ligne permet de souligner les carences de la convention et ses difficultés d'application.

Les ressources des personnes en situation de handicap

Nombreux sont les appelants qui ont également interpellé la ligne d'écoute avec des questions telles que la reconnaissance de leur handicap et les ressources dont ils bénéficient.

Pour bénéficier de l'allocation adulte handicapé (AAH), les candidats doivent remplir un certain nombre de conditions administratives et médicales. Leur dossier est ainsi examiné, au niveau médical, par la Commission des droits et de l'autonomie des personnes handicapées, au sein de la Maison départementale des personnes handicapées, après évaluation individualisée par une équipe pluridisciplinaire. Une fois cet aspect validé par la commission, c'est la Caisse d'allocations familiales qui examine les conditions administratives, et notamment les ressources et le droit au séjour.

Sur la compatibilité AAH et ressources, soit les questions sont posées en amont d'une première demande, la personne s'interrogeant alors sur la prise en compte de ses ressources précédentes (lesquelles et sur quelle période ?), soit elles sont émises par le titulaire de l'AAH qui s'interroge sur les possibilités d'exercer une activité professionnelle tout en conservant ses droits à l'allocation.

Le nombre croissant de sollicitations constatées chaque année depuis la création du service Santé info droits traduit un besoin d'écoute sur les questions liées au droit des patients. Cette progression devrait se confirmer en 2010 pour se situer autour de 15 %.

Propos recueillis par Marion Elber
 Rédactrice en chef

³ S'assurer et emprunter avec un risque aggravé de santé.

Education thérapeutique du patient

L'AFH remporte l'appel à projets de la Direction générale de la santé

Septembre 2010 - L'AFH vient de remporter un appel à projets intitulé « *Maladie chronique tremplin 2010 : conditions et modalités d'intervention de patients dans la mise en œuvre de programmes d'éducation thérapeutique* », organisé par la Direction générale de la santé, avec la collaboration de l'INPES¹ et de la HAS². Ce succès est une reconnaissance du travail de l'AFH en matière d'éducation thérapeutique et marque le lancement de la formation des Patients ressource.



■ L'appel à projets

Alors que deux arrêtés relatifs à l'Education thérapeutique du patient (ETP) ont été publiés le 4 août dernier³, l'AFH et ses partenaires soignants (médecins, infirmières et kinésithérapeutes) et universitaires sont heureux de vous annoncer la reconnaissance par les plus hautes autorités de santé du travail accompli depuis deux ans pour améliorer le savoir des personnes atteintes d'hémophilie pour vivre avec leur maladie.

Ainsi, le ministère de la Santé, en sélectionnant le projet que nous avons déposé, reconnaît qu'un programme éducatif adapté et personnalisé peut permettre aux patients de prendre des décisions favorables à leur santé et à leur prise en charge, lorsqu'ils se trouvent confrontés à des signes ou à des accidents hémorragiques. Ce travail s'inscrit dans une réflexion sur la complémentarité éducative avec les structures de soins.

En 2008, un groupe de travail réunissant des professionnels de santé et des patients avait validé, avec l'appui méthodologique du Laboratoire de pédagogie de la santé de l'université Paris-13, la participation de Patients ressource à des programmes d'ETP, en collaboration avec les soignants. Le Patient ressource reçoit une formation spécifique afin d'assurer un rôle de facilitateur d'écoute, de parole et de soutien. Il contribue à l'amélioration des programmes d'éducation, en facilitant l'expression des patients et en favorisant la compréhension du discours des soignants par l'utilisation de techniques pédagogiques adaptées.

Grâce à cet appel à projets remporté, il s'agit aujourd'hui de **mettre en œuvre l'intervention de Patients ressource dans le cadre de programmes personnalisés d'éducation thérapeutique du patient hémophile.**

1 • Institut national de prévention et d'éducation pour la santé.

2 • Haute Autorité de santé.

3 • Arrêtés du 2 août 2010 relatifs aux compétences requises pour dispenser l'ETP, au cahier des charges des programmes d'ETP et à la composition du dossier de demande de leur autorisation.

■ La formation des Patients ressource

Le projet vise plus particulièrement :

- ▶ à identifier et coopter des patients hémophiles en vue de leur participation à des programmes d'ETP en tant que Patient ressource ;
- ▶ à former les patients afin de leur faire acquérir les compétences nécessaires à une intervention adaptée aux activités d'ETP, en tant que Patient ressource, en collaboration avec les soignants ;
- ▶ à évaluer les compétences développées par les Patients ressources lors de leur intervention dans les programmes d'ETP.

La formation comprend deux volets : en premier lieu, une autoformation de renforcement sur l'hémophilie, et en second lieu, une formation de groupe qui constitue le cœur de la formation. L'autoformation est exclusivement destinée à renforcer les connaissances sur l'hémophilie et sa prise en charge. La formation de groupe vise, quant à elle, à développer plus particulièrement les capacités à intervenir aux côtés des éducateurs-soignants, à travers des compétences de savoir-faire et de savoir-être mises en œuvre en situation de co-animation. La formation fera l'objet d'une évaluation pédagogique centrée sur les Patients ressource.

Ce projet concerne les patients de plus de 18 ans atteints d'hémophilie modérée ou sévère, confrontés régulièrement et fréquemment à l'autotraitements, mais aussi les parents d'enfants atteints d'hémophilie ayant au minimum une expérience d'autotraitements de trois ans avec leur enfant (le Patient ressource peut en effet être un parent si le public des séances d'ETP est composé de parents d'enfants hémophiles).

Etre Patient ressource, c'est travailler en complémentarité avec les médecins, les infirmières et les kinésithérapeutes. Il est donc nécessaire d'avoir préalablement des connaissances sur la maladie et ses traitements. Il convient de rappeler que le candidat Patient ressource connaît bien l'hémophilie et la prise en charge de l'hémophilie : il sait s'autotrainer et faire face à sa maladie, à ses difficultés et aux situations à risque ou d'urgence rencontrées dans l'hémophilie. Nombreux sont les patients hémophiles ou parents d'enfants hémophiles qui acquièrent ces compétences à travers l'expérience de leur maladie ou de la maladie de leur enfant. Par conséquent, le niveau souhaité à l'entrée en formation sera souvent atteint par les candidats. Cette question ne doit pas inquiéter le candidat Patient ressource ni les recruteurs, d'autant que la plupart de ces compétences seront révisées ou renforcées pendant la formation.

L'AFH souhaite former une vingtaine de Patients ressource en 15 mois. Elle sollicitera les patients et parents avec l'aide des Centres de traitement de l'hémophilie (CTH). Le recrutement se fera surtout sur la motivation du candidat, son désir de transmettre et son

comportement spontanément empathique vis-à-vis de ses pairs.

A l'issue de la formation, le Patient ressource sera capable :

1. d'expliquer ce que sont l'hémophilie et sa prise en charge ;
2. de reconnaître et décrire les situations à risque ou d'urgence rencontrées dans l'hémophilie, et mettre en place une réaction adaptée ;
3. de situer le rôle et la place du Patient ressource ;
4. de mettre en œuvre les techniques d'animation adaptées à la co-animation d'un groupe de patients ;
5. d'aider les patients à apprendre.

Les enfants viennent en consultation tous les trois à quatre mois, selon l'histoire de leur maladie. Puis deux ou trois fois par an jusqu'à l'adolescence. On conseille aux adultes de venir une ou deux fois par an.

Thomas Sannié

*Chargé de la santé publique et de l'ETP
Président du comité Ile-de-France*

► **Vous voulez en savoir plus ? Vous êtes intéressé ? Prenez contact avec l'AFH :**
Tél. : 06 07 38 02 44 – E-mail : thomas.sannie@afh.asso.fr

Education thérapeutique et action d'accompagnement : quelques précisions

Le rapport complémentaire sur les actions d'accompagnement établi par Christian Saout, président du Collectif interassociatif sur la santé (CISS), le Pr Bernard Chabonnel et le Pr Dominique Bertrand a été publié en juin 2010. Il permet de préciser la frontière entre action d'éducation thérapeutique et action d'accompagnement.

Le rapport rappelle le cadre législatif. L'article L 1161-1 du Code de la santé publique définit l'éducation thérapeutique, avant que les articles L 1161-2, L 1161-3 et L 1161-5 ne viennent préciser les modalités opérationnelles successives : programmes d'éducation thérapeutique proprement dits, actions d'accompagnement, programmes d'apprentissage. L'article L 1161-4 établit quant à lui des règles prudentielles en cas de financement des programmes de l'article L 1161-2 et des actions de l'article L 1161-3 par des entreprises se livrant à l'exploitation d'un médicament ou des entreprises proposant des prestations en lien avec la santé.

Comme le souligne le rapport, l'ETP en France résulte de la coexistence de plusieurs modalités opérationnelles concourant peu ou prou à couvrir le domaine entendu au plan international sous le vocable usuel d'« éducation thérapeutique ». Ainsi, les associations de patients agréées peuvent, en complémentarité avec les professionnels de santé, élaborer et mettre en œuvre des programmes d'éducation thérapeutique. Elles peuvent également mettre en place des actions d'accompagnement, au sein de programmes d'éducation thérapeutique ou indépendamment de ceux-ci.

L'AFH, association agréée, fait le choix de travailler en pleine complémentarité avec les soignants sur ces deux terrains. Pour l'AFH, quand le savoir des patients est reconnu par tous et intégré dans une démarche d'éducation thérapeutique, l'alliance avec les soignants doit aller au-delà de la question du soin et intégrer « le vivre avec la maladie » au quotidien. Avec le déploiement des Patients ressource, elle sera en première ligne pour défendre cette position. L'AFH sera également en première ligne pour que les programmes d'éducation thérapeutique en hémophilie trouvent un financement auprès des Agences régionales de santé (ARS), mais aussi pour que l'ensemble des maladies rares bénéficie, au niveau national, d'un mécanisme de financement adapté.

Thomas Sannié

ALPES

Maison des associations
67, rue Saint-François-de-Sales
73000 Chambéry
PRÉSIDENT
Alain Cote
CONTACT
Williams Fosse
Tél. : 06 82 85 19 90
afh.alpes@laposte.net

ALSACE

Maison des associations
La Place des Orphelins
67000 Strasbourg
PRÉSIDENT
Jean-Pierre Bernhard
Tél. : 06 83 70 58 40
afh-alsace@wanadoo.fr

AQUITAINE

Le Bourg
24350 Montagnier
PRÉSIDENT
Roland Nardou
Tél. et fax : 05 53 91 64 73
roland-nardou@wanadoo.fr

AUVERGNE

2^e impasse du Rassat
63000 Clermont-Ferrand
PRÉSIDENT
Christophe Besson
Tél. : 06 82 14 10 50
afh.auvergne@free.fr

**BOURGOGNE –
FRANCHE-COMTÉ**

1, avenue de la Gare
25680 Rougemont
PRÉSIDENT
Michel Sandoz
Tél. : 03 81 86 03 80 (domicile)
Tél. : 03 81 86 91 98 (bureau)
Tél. : 06 07 05 55 79
Fax : 03 81 86 01 73
sandozmiafh@wanadoo.fr

BRETAGNE

6, rue Marcel-Pagnol
29200 Brest
PRÉSIDENT
Jean-Michel Bouchez
Tél. : 02 98 01 17 79
Fax : 02 98 03 76 47
afh.bretagne@orange.fr

CENTRE

38, rue du Vieux-Bourg
45700 Villemandeur
PRÉSIDENT
Jean-François Duport
Tél. : 02 38 98 28 16
jean-francois.duport@wanadoo.fr

CHAMPAGNE-ARDENNE

15, rue René-Blondet
51100 Reims
PRÉSIDENT
Jean-Marc Dien
Tél. : 03 26 36 67 61
afh.champarden@laposte.net

ILE-DE-FRANCE

6, rue Alexandre-Cabanel
75739 Paris CEDEX 15
PRÉSIDENT
Thomas Sannié
Tél. : 01 45 67 57 30
Tél. : 06 07 38 02 44
thomas.sannie@afh.asso.fr

LANGUEDOC-ROUSSILLON

7, rue Castel-Moton
34000 Montpellier
PRÉSIDENT
Régis Marchiaro
Tél. : 04 67 66 12 47
resmar34@free.fr

LIMOUSIN

8, rue des Tanneries
23000 Guéret
PRÉSIDENT
Christian Marandola
Tél. : 05 55 41 03 99
ch.marandola@wanadoo.fr

LORRAINE

73, rue des Vosges
57790 Nitting
PRÉSIDENT
Bernard Gajowski
Tél. : 03 87 24 85 12
afh.lorraine@gmail.com

MIDI-PYRÉNÉES

22, avenue de Lespinet
31400 Toulouse
PRÉSIDENT
Francis Fort
Tél. : 05 61 53 95 05
afh.midipyrenees@numericable.fr

NORD-PAS-DE-CALAIS

54, rue du Général-Leclerc
62120 Aire-sur-la-Lys
PRÉSIDENTE
Myriam Boccage
Tél. : 03 21 93 85 59
myriam.boccage@wanadoo.fr

BASSE-NORMANDIE

8, rue Jean-Giono
14550 Blainville-sur-Orne
PRÉSIDENT
Christophe Hos
Tél. : 02 31 95 86 09
chos77@free.fr

HAUTE-NORMANDIE

10, rue Rembrandt
27950 Saint-Marcel
PRÉSIDENT
Michel du Laurent de la Barre
Tél. : 02 32 21 60 29
michel.delabarre@sfr.fr

**PAYS DE LA LOIRE –
POITOU-CHARENTES**

30, boulevard Jean-Monnet
44093 Nantes CEDEX 1
PRÉSIDENT
Jean Rivet
Tél. : 02 41 63 16 08
afh.plpc@wanadoo.fr

PICARDIE

46, rue du Général-Leclerc
60250 Mouy
PRÉSIDENTE
Céline Huard
Tél. et fax : 03 44 70 17 29
afh.picardie@neuf.fr

PACA-CORSE

6, rue du Lieutenant-
J.-B. Meschi - BP 43
13351 Marseille CEDEX 05
PRÉSIDENT
Giovanni Vescovi
Tél. et fax : 04 91 49 88 66
secretaire@afhwpacacorse.com

RHÔNE-ALPES

12, rue Paul-Bernascon
38230 Chavagneux
PRÉSIDENT
Francis Gress
Tél. : 04 72 46 31 91
Tél. : 06 13 09 05 92
afhrhone@yahoo.fr

**Départements
d'outre-mer**

GUADELOUPE

Résid. Callebassiers 2 – n° 203
Palais Royal
97139 Les Abymes
PRÉSIDENTE
Christel Maurin
Tél. : 06 90 73 79 45
afhguadeloupe@yahoo.fr

MARTINIQUE

CHU de Fort-de-France
BP 632
97261 Fort-de-France CEDEX
PRÉSIDENT
Dr Serge Pierre-Louis
Tél. : 05 96 55 24 45

RÉUNION

11, chemin des Avocats
97417 La Montagne
PRÉSIDENTE
Laurence Arlanda
Tél. : 06 92 64 99 54
hemophiledelareunion@yahoo.fr



**Association française
des hémophiles**

Reconnue d'utilité publique par décret du 15 mai 1968
Agréée par le ministère de la Santé par arrêté du 18 décembre 2006

Siège national

Association française des hémophiles
6, rue Alexandre-Cabanel - 75739 Paris Cedex 15
Tél. : 01 45 67 77 67 - Fax : 01 45 67 85 44
E-mail : info@afh.asso.fr
Site Internet : www.afh.asso.fr

Rédactrice en chef et responsable de la
communication : Marion Elber
Assistante de communication et secrétariat :
Bérengère Blaize
Secrétaire comptable : Sandrine Lefebvre

Conseil d'administration

Sont administrateurs les membres du bureau national,
les présidents des comités régionaux et les chargés de
mission élus à la dernière assemblée générale.

Bureau

Président : Norbert Ferré
Secrétaire général et coordination
des comités régionaux : Jean-François Duport
Secrétaire général adjoint : Jean-Marc Dien
Trésorier : José-Ramon Goicoechea
Bureaux et CA : Cathy Bronner
Relations sociales : Michel du Laurent de la Barre

Chargés de mission

Commission « Famille » :
Cathy Bronner
Commission « Femmes » :
Murielle Pradines et Yannick Collé
Commission « Jeunes adultes » :
Dorothee Pradines et Nadège Pradines
Commission « Kinésithérapie » :
Christian Fondanesche et Michel Raymond
Commission « Seniors » :
Francis Fort
Commission « Willebrand » :
Misha Prout
Affaires européennes et internationales :
Alain Weill
Comptabilité des comités régionaux :
Pascal Hantz et Philippe Etienne
Formations :
Jean-Pierre Bernhard
Informatique et information santé :
Jean-Michel Alcindor
Informatique et Internet :
Christian Le Gall et Jean-Michel Alcindor
Jumelages, partenariats :
Jean-Michel Bouchez et Nadège Pradines
Questions juridiques :
Régis Marchiaro et Jean Rivet
Relations interassociatives :
Alphonse Cailleau (CHV), Thomas Sannié (CISS),

Rémi Hurel (AMR) et Dorothee Pradines
(Chroniques associés)
Santé publique et ETP :
Thomas Sannié

Présidents d'honneur

Jean-Louis Dubourdieu
Francis Graëve
Edmond-Luc Henry
Bruno de Langre
James Mauvillain
Dr Patrick Wallet

Membres d'honneur

Pr Daniel Alagille (†)
Pierre Desroche
Pr Pierre Izarn (†)
Jean-Pierre Lehoux (†)
René Régnier (†)
Pierre Roustan (†)

**Membres associés au conseil
d'administration**

Dr Anne-Marie Berthier
Dr Michel Duhamel
Jean Lugan
Pr Claude Négrier
Dr Francis Sicardi

Anciens présidents

Henri Chaigneau (†), fondateur, 1955-1970
André Leroux (†) 1970-1988
Bruno de Langre 1988-1992
Patrick Wallet 1992-1996
Edmond-Luc Henry 1996-2000
Jean-Louis Dubourdieu 2000-2003
Michel Mécrin 2003-2004
Edmond-Luc Henry 2004-2005