



MALADIES HEMORRAGIQUES: Quel référentiel pour l'Afrique?

Jean-François Schved
Centre Régional de Traitement de l'Hémophilie
CHU Montpellier

MALADIES HEMORRAGIQUES

- **Hémophilie A: Déficit Facteur VIII**
- **Hémophilie B: Déficit facteur IX**

Facteur VIII or IX < 1%: sévère

Facteur VIII or IX = 1 à 5%: modérée

Facteur VIII or IX >5%: fruste

- **Autres déficits rares**
 - F II, VII, X, XI, V
 - Thrombopathie

MALADIES HEMORRAGIQUES

1 Assurer le diagnostic

2 Quel(s) traitements

- Possibles, souhaitables...nécessaires?

MALADIES HEMORRAGIQUES: Assurer le diagnostic

1 – Premier Niveau : dépistage et orientation du diagnostic

- Qui?
 - Tout laboratoire de biologie
 - Echelle locale/régionale
- Quels moyens?
 - Bain-Marie
 - Réactifs de base pour TP, TCA et routine
- Prérequis
 - Orientation clinique
 - Formation du personnel
- Souhaitable
 - Contrôles de qualité internes

MALADIES HEMORRAGIQUES: Assurer le diagnostic

2 – Second niveau : diagnostics les plus courants et suivi

- Qui?
 - Laboratoire spécialisé
 - Echelle régionale/ nationale
- Quels moyens?
 - Semi-automate ou automate
 - Plasmas déficitaires
- Prérequis
 - Nombre d'examens suffisants
 - Conservation des réactifs et des plasmas à tester
 - Formation du personnel
 - Procédures validées et contrôles de qualité internes et externes

MALADIES HEMORRAGIQUES: Assurer le diagnostic

3 – Troisième niveau: diagnostics difficiles

- Qui?
 - Laboratoire de référence
 - Echelle nationale/internationale
- Quels moyens?
 - Envois de prélèvements
- Prérequis
 - Conservation des échantillons
 - Respect des contraintes préanalytiques pour le transport des échantillons

MALADIES HEMORRAGIQUES: DIFFICULTES liées aux TRAITEMENTS?

- **Problématique des traitements substitutifs**
 - Utilisation IV exclusive
 - Demi-vie courte
 - Coût exorbitant => disponibilité faible
 - Risque d'inhibiteurs anti *VIII*
- **Alternatives aux traitements spécifiques**
 - Plasma frais congelé
 - Sang total
 - Thérapeutiques d'appoint

HEMOPHILIE: SITUATIONS CLINIQUES à TRAITER

- Hemorragies non extériorisées/extériorisées
- Gestes invasifs
- Inhibiteur
- Gestion du quotidien

... à quel prix?

HEMOPHILIE:

Le coût d'un hémophile en France

● Quelques exemples

- Adulte, Hemophilie A, un accident par mois:
 - 30 000 Unités par an = 25 000 euros/an
- Adulte, Hemophilie A, urgence hémorragique vitale
 - 50 000 Unités = 40 000 euros
- Adulte, Hemophilie A, prothèse de genou
 - 100 000 Unités = 80 000 euros
- Enfant, Hemophilie A, prophylaxie classique
 - 100 to 150 000 Unités/ an = 80 à 120 000 euros/an

HEMOPHILIE: Options thérapeutiques

1. Traiter l'hémophilie sans produits
Que peut-on faire?
2. Traiter l'hémophilie avec peu de produits
Les choix difficiles
3. Essayer d'obtenir plus de produits
Quelles stratégies?

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

1 - Traiter l'hémophilie sans produits

- Formation et éducation des personnels de santé
- Education des patients
- Alternatives aux traitements substitutifs
- Problèmes pratiques: situations particulières

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

1 - Traiter l'hémophilie sans produits

- Formations des professionnels de santé
 - Médecins, infirmières, kinésithérapeutes
 - Questions:
 - Formation sur site/ hors site (autre pays)
 - Frais de formation
 - Privilégier la formation sur site
 - Nécessité d'un programme identique avec objectifs bien définis
 - Problème de langue parfois

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

1 - Traiter l'hémophilie sans produits

- Education des patients
 - Mode de vie
 - Mesures thérapeutiques immédiates
 - Immobilisation, arrêt des appuis, glace (?)
 - Disposer d'une documentation simple, claire
 - Choix des stratégies pour cette éducation

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

1 - Traiter l'hémophilie sans produits

- Alternatives aux traitements substitutifs
 - Acide tranexamique
 - Acide epsilon amino-caproïque
 - Desmopressine
- En fonction de la disponibilité
 - Plasma frais congelé
 - Sang total

HEMOPHILIE: Options thérapeutiques

1 - Traiter l'hémophilie sans produits

- Problèmes pratiques
 - Soins dentaires: possibles
 - Hémarthroses: Conseils et soins
 - Circoncision: risques majeurs
 - Chirurgie d'urgence
- Nécessité de disposer de recommandations consensuelles validées

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

2 – Traiter l'hémophilie avec peu de produits

Question: supposons que vous disposiez de produits en quantité très limitée, quelles options choisiriez-vous?

- Traiter les jeunes enfants pour réduire le risque séquellaire
 - A la demande? Prophylaxie?
- Gestes thérapeutiques limités
 - Synoviortèse
- Réserver les produits à l'urgence

Ou:

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

2 – Traiter l'hémophilie avec peu de produits

=> Définir des priorités

- Option 1: Traiter les petits enfants

- A la demande: définir la plus petite dose efficace
- Prophylaxie
 - Classique: inapplicable
 - Faible dose (10 UI/kg, 2 fois par semaine)
 - Choix des patients: problème éthique
 - Sur une période limitée

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

2 – Traiter l'hémophilie avec peu de produits

=> Définir des priorités

- Option 2: Gestes invasifs limités: Synoviortèse
 - Rapport coût/efficacité intéressant
 - Choix du produit:
 - Isotopes: difficile à obtenir, coûteux
 - Rifamycine ou Tétracyclines
 - Nécessite traitement substitutif limité (4 à 6000UI)

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

2 – Traiter l'hémophilie avec peu de produits

=> Définir des priorités

- Option 3: Garder les produits pour l'urgence

- Uniquement urgences vitales?

- Où laisser les produits?

Centres de traitements, Hôpitaux?

- Traiter aussi hématomes ou hémorragies de localisation dangereuse : périorbitaires, avant-bras...

- Hémarthroses?

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

2 – Traiter l'hémophilie avec peu de produits

- Ex: avec 1 000 000 UI on peut
 - Mettre en place 40 prophylaxies faible dose chez petits enfants (<20Kg)
 - Réaliser 100 à 150 synoviortèses
 - Traiter 500 à 1000 hémarthroses

HEMOPHILIE:

Options thérapeutiques

2 – Traiter l'hémophilie avec peu de produits

- Peut permettre d'améliorer significativement le pronostic vital et fonctionnel
- Se complique inexorablement de l'apparition d'inhibiteurs: que faire , face au coût déraisonnable des options thérapeutiques possibles?

HEMOPHILIE:

Pour aller plus loin

3 - Obtenir plus de produits

- Produits existant
 - Marché négocié à l'échelle de plusieurs pays?
 - GAP de World Federation for Hemophilia
- Préparer des produits
 - Dans le pays
 - Plasma frais congelé sécurisé ou viro-inactivé
 - Concentrés de facteurs
 - Accord avec industrie
 - Produits préparés à partir de la collecte faite dans le pays

HEMOPHILIE et MALADIES HEMORRAGIQUES: Conclusions

- Hémophilies et maladies hémorragiques sont rares et ne sont pas considérées comme des priorités de santé
- Ressources consacrées sont et risquent de rester limités
- Systèmes de santé différents d'un pays à l'autre
 - Pas de solution toute faite
 - Solutions ou propositions adaptées pour chaque pays
- Il est toujours possible d'agir, même de façon limitée, pour préserver l'avenir des patients

