

Recommandations pour l'évaluation, le contrôle et le suivi des personnes avec hémophilie (PAH)

J. Astermark, A. Batorova, K. Fisher, C. Hermans, T. Lambert, G. Lavigne, P. de Moerloose, A. Rocino, J. Windyga, un sous-groupe de *l'European Haemophilia Standardisation Board* (EHTSB)

The European Haemophilia Therapy Standardisation Board (EHTSB)

- Fondé en 2003
- Groupe indépendant de 24 responsables de centres d'hémophilie provenant de 14 pays européens
- Suivi d'environ 12'000 patients avec des problèmes de saignements héréditaires
- Réunions financées par Baxter

The EHTSB Centres



But de ce travail

- Le suivi clinique des PAH est devenu plus complexe avec entre autres l'introduction de nouvelles stratégies de traitement, la présence de co-morbidités dues à l'hémophilie ou à l'âge.
- Diverses recommandations nationales pour le diagnostic et le traitement de l'hémophilie ont été publiées. Toutefois, elles ne couvrent en général pas le suivi des patients.
- Le but principal de ce travail est de fournir des **recommandations pratiques** pour assurer la qualité du soin et le suivi des PAH en Europe.

Méthode

- En l'absence d'études formelles, ces recommandations ont été établies à la suite d'une série de séances de travail de l'EHTSB
- Sont décrits les paramètres et informations qui **doivent être documentés** pour le suivi optimal des PAH

11 domaines ont été identifiés

1. Informations de base
2. Mises à jour des informations
3. Traitement
4. Présence d'inhibiteurs
5. Saignements
6. Statut articulaire et douleur
7. Co-morbidités
8. Soins dentaires
9. Activités physiques
10. Participation sociale
11. Qualité de vie

1. Informations de base

Date de naissance

Sexe

Origine ethnique

Groupe sanguin

Antécédents familiaux d' :

- hémophilie
- inhibiteurs

Diagnostic :

- type et sévérité de l'hémophilie
- génétique
- présence d'inhibiteurs

Âge lors du :

- diagnostic
- 1^{er} symptôme de saignement (spécifier date, type et localisation)
- 1^{er} saignement articulaire (spécifier site et cause)
- 1^{er} traitement (spécifier lequel)
- début de la prophylaxie

Antécédents de produits dérivés du sang autres que concentrés de facteurs

2. Informations : mises à jour

Évaluation clinique :	Date de mise à jour
<ul style="list-style-type: none">- plaintes- médicaments- alcool et tabac	
Événements importants :	
<ul style="list-style-type: none">- saignements majeurs- chirurgie (orthopédique et autres), hospitalisations	
Histoire familiale :	
<ul style="list-style-type: none">- nouveaux cas- nouveaux inhibiteurs- identification des conductrices	
Vaccinations	
Statut physique général, incluant poids, taille, tension artérielle	
Évaluation de la coagulation sanguine :	
<ul style="list-style-type: none">- niveau du facteur VIII ou IX pour les patients légers/modérés, demi-vie, réponse au DDAVP	
Bilan infectieux et marqueurs viraux :	
<ul style="list-style-type: none">- hépatites, HIV et autres	

3. Traitement

Thérapie de substitution :

- type de concentré
- à la demande : dosage (UI/kg/injection)
- prophylaxie :
 - date/âge du début/fin
 - dosage (UI/kg/injection)
 - fréquence
 - horaire des injections

Qui effectue l'injection?

Agenda :

- dose et heure de chaque injection / motif
- numéro de lot
- consommation annuelle

Autres traitements hémostatiques (DDAVP, agents anti-fibrinolytiques)

Traitement en cas d'hospitalisation

Autres traitements (antalgiques, anti-inflammatoires, et des co-morbidités)

4a. Fréquence recommandée du contrôle des **inhibiteurs** chez les patients avec hémophilie **A sévère**

Contrôle initial :

- tous les 5 Jours d'Exposition (JE) jusqu'à 20 JE
- dès 21 JE, tous les 10 JE jusqu'à 50 JE
- au moins 2 x par an jusqu'à 150 JE

Suite de contrôle :

- annuel
- lors de toute indication clinique
- avant et après une opération
- avant et après un changement de produit

Si positif, répéter et contrôler la récupération

4b. Fréquence recommandée du contrôle des **inhibiteurs** chez les patients avec hémophilie **A** **légère** et hémophilie **B**

Chez les patients avec hémophilie **légère**, des inhibiteurs peuvent apparaître après traitement avec des concentrés, les tests devraient être contrôlés en conséquence.

Dans l'absence de recommandations spécifiques pour **l'hémophilie B**, nous recommandons de suivre le protocole concernant l'hémophilie A.

5a. Information concernant les épisodes de saignements

Les saignements sont le paramètre-clé pour évaluer l'efficacité de la stratégie thérapeutique. Toute modification dans la fréquence ou la sévérité des saignements devrait être investiguée et le traitement modifié en conséquence

5b. Information concernant les épisodes de saignements

Hémarthroses* :

- nombre d'épisodes
- date/heure, localisation, motif
- type de traitement (dose, nombre et intervalle)
- réponse au traitement

Autres saignements majeurs :

- nombre, type
- date/heure, localisation, motif
- traitement et réponse au traitement

Saignements mineurs :

- nombre, type
- date/heure, localisation, motif
- traitement et réponse au traitement

*Hermans, de Moerloose, Fischer et al. *Haemophilia* 2011;17:383

6a. Évaluation du **statut articulaire** et de la **douleur**

- L'évaluation de la **fonction articulaire** est centrale pour parvenir à maintenir la santé des articulations. Plusieurs scores cliniques (adaptés à l'âge de la PAH) ou basés sur l'imagerie ont été validés. Le besoin en **physiothérapie** devrait aussi être évalué.
- De nombreuses échelles de la **douleur** existent. Le choix de l'outil le plus approprié dépend des circonstances cliniques (p.ex. lors d'un suivi de routine ou dans le cadre d'une étude) de même que du temps et des éléments à disposition
- Pour aider à évaluer l'efficacité de la prophylaxie, il convient d'effectuer une **imagerie** de routine tous les 4-5 ans dès l'âge de 8 ans, ou avant si cliniquement indiqué.

6b. Évaluation musculo-squelettique

Fonction : au moins une fois par an pour les patients sévères

- Haemophilia Joint Health Score (HJHS)
- Range of motion (ROM)

Douleur : à chaque visite

Si présente :

- intensité (1-10)
- durée moyenne par jour
- fréquence (échelle de 5 points)
- localisation/articulations concernées
- antalgie : type et consommation

Imagerie :

Selon l'indication clinique, envisager des investigations supplémentaires par imagerie (ultrasons, IRM, radios)

7a. Évaluation des **co-morbidités**

- Les PAH vivent désormais plus longtemps, ce qui implique inévitablement l'augmentation d'autres problèmes de santé. Il faut donc effectuer la surveillance des facteurs de risque.
- Tous les tests doivent être adaptés à l'état de santé général, le type de co-morbidités, et l'âge du patient.
- Les tests qui suivent sont un rappel du contrôle qui devrait être envisagé. Peu importe quel praticien effectue ces tests, pour autant les résultats soient centralisés et conservés.

7b. Évaluation des **co-morbidités** (en particulier chez les patients adultes)

Formule sanguine

Tests de coagulation (TP, PTT, fibrinogène, facteurs si nécessaire)

Bilan ferrique

Bilan viral (selon statut vaccinal) :

- hépatites
- HIV

Si positif, tests supplémentaires et consulter un spécialiste

Fonctions rénale et hépatique

Glycémie (sucre) et profil lipidique (cholestérol et autres)

Autres tests si cliniquement indiqués

8. Soins dentaires

- En général, les soins dentaires ne nécessitent pas une augmentation du taux de facteur, mais une couverture adéquate est requise avant, et possiblement après, des traitements plus intensifs (détartrage important, etc.).
- En cas de traitement agressif ou de chirurgie dentaire, les gestes et toute médication utilisés pour la couverture hémostatique devraient être documentés afin de maintenir un dossier médical complet.

9a. Activités Physiques

- Un objectif de la prise en charge des PAH est de leur permettre de conserver un mode de vie actif. La *Haemophilia Activities List* (HAL) est un questionnaire d'auto-évaluation spécifique à l'hémophilie destiné à évaluer et à suivre l'état de santé fonctionnel du patient d'après sa propre perception.
- Il est également important de prendre en compte la profession de la PAH, ainsi que suivre sa participation à des sports.

9b. Éléments à prendre en compte concernant les **Activités Physiques**

Haemophilia Activities List (HAL) : une fois par an

Profession :

- f. de risques de saignements ou lésions articulaires
- limitations de la condition actuelle sur le type de travail

Activités sportives/hobbies :

- quels sports
- fréquence
- utilisation de concentré avant le sport

10a. Participation Sociale

L'impact de l'hémophilie sur la participation sociale des PAH doit être documentée pour permettre à l'équipe soignante d'identifier des problèmes potentiels et, dans la mesure du possible, mettre en place des mesures de soutien

10b. Éléments à prendre en compte pour la Participation Sociale

Etat civil

Enfants

Education

Profession

Assurance invalidité

Absentéisme au travail ou à l'école :

- depuis la dernière visite
- total des jours d'absence par année afin d'évaluer l'impact général sur le patient

Investissement dans une organisation/association de patients

Participation à des cours d'auto-injection

11. Qualité de Vie

- L'évaluation de la Qualité de Vie (*Quality Of Life*=QOL) peut aider les patients et les cliniciens à choisir entre différents traitements, et contrôler le succès thérapeutique selon le point de vue du patient; elle est de plus en plus utilisée pour appuyer des demandes d'aide financière et des remboursements de médicaments
- Il existe des instruments de mesure pour les patients, enfants ou adultes.
- Ces questionnaires (à adapter à l'hémophilie et au pays, à simplifier) sont actuellement plutôt des outils de recherche.

Conclusion

- Adopter ces recommandations devrait aider à la prise en charge individuelle des patients; au niveau national et/ou international, cela devrait aussi aider à avoir une approche plus standardisée
- Cela devrait aussi avoir des implications dans le recueil de données, l'amélioration de l'évaluation du traitement, et optimiser les ressources
- Merci de votre attention et merci Olivia