

# Hémophilie

et maladie de Willebrand

Mars 2014 N° 204

Revue trimestrielle de l'Association française des hémophiles



## DOSSIER central

Les pathologies plaquettaires, des troubles de l'hémostase primaire

La formation des membres associatifs : une nécessité aujourd'hui et un engagement pour l'avenir

L'AFH, moteur d'une alliance pour une meilleure prise en charge des hémophiles d'Afrique

Mise en place d'un dispositif de surveillance neurologique renforcé

Les médicaments à durée de vie prolongée : où en est la recherche ?

Réussir l'intégration scolaire des enfants atteints d'un trouble rare de lacoagulation

Actualités

Santé publique

Recherche

Au quotidien



Les régions se mobilisent pour faire avancer la recherche

# Journée mondiale de l'hémophilie 2014

## Tous ensemble nous faisons avancer la recherche

Prix au numéro : 6 euros

# édito

## 2014, des orientations fondamentales

Les 14 et 15 décembre dernier, l'Association française des hémophiles a réuni son conseil d'administration pour un rendez-vous exceptionnel : exceptionnel par sa durée – 2 jours de travail – et exceptionnel par son contenu. En effet, 4 décisions majeures ont été prises, et il semble essentiel de vous les faire partager.

Tout d'abord, par une immense majorité des administrateurs, l'AFH a décidé de « s'engager dans la recherche active de fonds pour financer des programmes de recherche ». Avoir pour ambition de devenir dans les années qui viennent un acteur majeur du financement de la recherche pour les troubles rares de l'hémostase doit se faire étape par étape et sans précipitation. Le conseil d'administration restera décisionnaire tout au long du processus. Mais il n'en reste pas moins qu'une étape essentielle a été franchie et permet d'imaginer – si nous réussissons notre projet à hauteur de nos espérances – un rôle nouveau de l'AFH dans ce domaine<sup>1</sup>.

Ensuite, l'Alliance France et Afrique pour le traitement de l'hémophilie (Afath) a été approuvée à l'unanimité par le Conseil. C'est une promesse tenue par l'AFH, qui s'était engagée dès 2008 à consacrer 100 % des bénéfices du Congrès mondial de l'hémophilie 2012 de Paris à des projets de solidarité internationale<sup>2</sup>. En collaboration avec la Fédération mondiale de l'hémophilie et l'Institut national de la transfusion sanguine, l'AFH développera des actions de formation à destination des professionnels de santé et des associations ou groupes de patients issus de pays africains francophones pour mettre en place un diagnostic et un suivi soignant de premier niveau. C'est une magnifique aventure de 7 ans qui s'engage<sup>3</sup>.

En outre, le champ d'intervention de l'AFH s'élargit par l'intégration des personnes atteintes de pathologies plaquettaires au sein de notre association. C'est une étape importante car le ministère de la Santé est sur le point de créer une filière de soins regroupant l'ensemble des troubles de l'hémostase, et il fallait que l'AFH suive ce mouvement<sup>4</sup>.

Enfin – et ce point a été longuement discuté lors de ce conseil extraordinaire –, vous lirez avec attention la note d'information à destination de l'ensemble des patients concernés par un trouble rare de la coagulation, qui concerne la mise en place d'un dispositif de surveillance neurologique approuvé par tous les acteurs de santé<sup>5</sup>.

Recherche, solidarité internationale, élargissement de notre action aux autres troubles rares de l'hémostase et santé publique ont donc été au cœur de nos discussions lors de ce Conseil. L'AFH reste plus que jamais à vos côtés.

**Thomas Sannié**  
Président de l'AFH  
Paris, le 7 mars 2014

**Directeur de publication :** Thomas Sannié • **Rédactrice en chef :** Marion Berthon-Elber  
**Comité de rédaction :** Marion Berthon-Elber, Jean-Marc Dien, Norbert Ferré, Dorothee Pradines, Thomas Sannié • **Ont participé à ce numéro :** Sophie Aycaguer, Christophe Besson, Bérangère Blaize, Cathy Bronner, Bernard Daviet, Abdou-Ramane Diallo, Binta Diallo, Audrey Ledru, Stacy-Ann Lee-Leloup, Aurélie Le Flaouter, Sebastian Misztal, Bernadetta Pieczyńska, Geneviève Piétu, Nadège Pradines, Olivia Romero-Lux, Adam Sumera • **Conception graphique et mise en page :** Bérangère Blaize  
**Réviseur :** Thierry Klajman • **Photogravure et impression :** Impact Imprimerie • **Photos :** tous droits réservés, sauf page 11 © Christian Fondanesche. Tirage : 2 600 exemplaires – ISSN : 1632-8515 - Dépôt légal : mars 2014.

**L'AFH remercie le ministère des Affaires sociales et de la Santé pour son soutien continu.**

## sommaire

### Actualités

3 **Actions et agenda**

6 **Événement**  
JMh 2014 :  
Tous ensemble  
nous faisons avancer la recherche



8 **Arrêt sur...**  
• Buddy award :  
le prix du meilleur ami  
9 • Stage d'ETP,  
du 15 au 17 novembre dernier  
à Noirmoutier  
10 • La formation  
des membres associatifs :  
une nécessité aujourd'hui  
et un engagement pour l'avenir

11 **International**  
L'AFH,  
moteur d'une alliance pour une  
meilleure prise en charge des  
hémophiles d'Afrique

### Santé publique

12 **Actualités**  
Mise en place d'un dispositif  
de surveillance neurologique renforcé



### Science et médecine

13 **Dossier**  
Les pathologies plaquettaires :  
des troubles rares  
de l'hémostase primaire

### Recherche

16 **Actualités**  
Les médicaments  
à durée de vie prolongée

19 **Arrêt sur...**  
Portrait d'un patient en essai  
clinique de thérapie génique



### Au quotidien

21 **Arrêt sur...**  
• Réussir l'intégration  
scolaire des enfants  
22 • Partir en voyage ?  
Rien de plus simple



23 **Bande dessinée**

24 **Contacts de l'AFH**



**Encart central**

**Bulletin d'adhésion**



**L'AFH remercie ses partenaires de l'industrie pharmaceutique pour leur soutien continu :**

**Or :** Baxter

**Argent :** Novo Nordisk, Pfizer, Sobi

**Bronze :** Bayer Pharma, CSL Behring,

**LFB Biomédicaments, Octapharma**

### 3 nouveaux membres au sein du conseil d'administration de l'AFH

Les 14 et 15 décembre dernier, le conseil d'administration (CA) de l'AFH a eu l'immense plaisir de coopter trois nouveaux administrateurs : Marie-Anne Olivier, représentante de la commission « Willebrand », Vanessa Placidoux Jean-Bart, présidente du comité Guadeloupe, et Justin Bonniay, président du comité Martinique.

Ces trois cooptations sont importantes et significatives pour le fonctionnement du CA et pour permettre à chacun d'y faire entendre sa voix. Tout d'abord, l'AFH, au travers de ses commissions, se veut attentive à toutes les personnes et à toutes les problématiques des troubles rares de l'hémostase, et elle juge également très important que leur voix puisse s'exprimer au sein du CA, dans l'élaboration de la politique de l'Association. D'autre part, la volonté de l'AFH d'être présente pour chacun sur tout le territoire national se voit renforcée par l'entrée au CA de deux nouveaux élus des Antilles, et donne tout son sens au slogan de notre association : « Aider la vie et porter la voix ».

Jean-Marc Dien  
Secrétaire général

### Congrès national de l'AFH 2014 N'oubliez pas de vous inscrire !

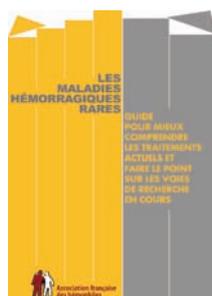


Nous vous attendons nombreux du 27 au 29 juin à Pau pour participer à trois jours de congrès avec au programme sessions plénières et ateliers interactifs sur des thématiques médicales et associatives\*. Pour vous inscrire, rendez-vous sur le site Internet de l'AFH : [www.afh.asso.fr](http://www.afh.asso.fr). Les inscriptions se font exclusivement en ligne (si vous rencontrez des difficultés ou si vous n'avez pas d'accès à Internet, nous vous invitons à contacter le siège de l'AFH - Tél. : 01 45 67 57 30).

\* Lire la revue n° 203 pages 11 à 14.

M. B.-E.

### Nouvelle brochure !



L'AFH publie un guide pour mieux comprendre les traitements actuels et faire le point sur les voies de recherche en cours. Qu'est-ce que l'hémostase ? Quels sont les traitements actuels des maladies hémorragiques rares ? Quelles sont les principales voies de recherche ? Aujourd'hui, de nouvelles thérapeutiques encore à l'étude dans les laboratoires de recherche apportent aux patients et à leurs proches l'espoir d'une amélioration de leur quotidien, voire, à terme, d'une guérison.

Cette brochure, qui dresse un portrait de la recherche en matière de maladies hémorragiques rares, vous est distribuée avec votre revue de mars. Pour aller plus loin, un état des lieux exhaustif des recherches actuellement en cours\* est également disponible en téléchargement sur le site Internet de l'AFH : [www.afh.asso.fr](http://www.afh.asso.fr)

\* Lire la revue n° 202 pages 17-18.

M. B.-E.

### 2 nouvelles salariées rejoignent l'équipe de l'AFH !

Ces dernières semaines, l'équipe salariée de l'AFH a connu de nombreux changements.

Sandrine Quéré, qui nous épaulait en qualité de secrétaire comptable, nous a quittés pour de nouveaux horizons. Pendant 6 ans, elle a pris part avec énergie au suivi logistique, comptable et administratif des projets de l'AFH, et nous l'en remercions.

Parallèlement, c'est avec plaisir que nous avons accueilli deux nouvelles salariées dans l'équipe !

**Binta Diallo** nous a rejoints fin février pour prendre ses fonctions de « Secrétaire ». A ce titre, elle assure la permanence téléphonique du siège du lundi au vendredi de 9h à 17h et sera votre premier contact national, notamment pour les questions sociales. Elle assure également le suivi logistique des projets de l'AFH, de ses commissions et de ses comités régionaux, et est en charge de la gestion de la documentation.

► Vous pouvez la joindre par e-mail à [info@afh.asso.fr](mailto:info@afh.asso.fr), ou par téléphone au 01 45 67 77 67.

**Aurélien Le Flaouter** nous a elle aussi rejoints fin février en qualité de « Comptable » à mi-temps. Elle participe à l'animation du groupe de travail « Ressources humaines et finances » et a notamment la charge de la saisie de la comptabilité nationale et régionale de l'Association.

► Vous pouvez la joindre par e-mail à [aurelie.leflaouter@afh.asso.fr](mailto:aurelie.leflaouter@afh.asso.fr), ou par téléphone (tous les jours de 9h à 12h30) au 01 45 67 57 28.



Je suis **Aurélien Le Flaouter** et rejoins l'AFH avec beaucoup de plaisir, en qualité de comptable à temps partiel. Je serai présente au siège tous les matins, du lundi au vendredi, de bonne heure et de bonne humeur !

Je suis titulaire d'un BTS « Comptabilité et gestion des organisations », que j'ai validé au sein de deux cabinets d'expertise comptable et, plus récemment, au service comptable d'une société spécialisée dans l'édition, la communication et l'infographie, durant plusieurs années.

Je connais et j'apprécie particulièrement le milieu associatif, pour avoir été bénévole par le passé dans une autre structure.

C'est un univers où les valeurs humaines sont très présentes, ce qui revêt une importance fondamentale à mes yeux. Au-delà du point de vue strictement comptable, je souhaite m'intégrer rapidement et participer pleinement à la vie de l'association.

Marion Berthon-Elber  
Directrice générale

Je me présente : je suis **Binta Diallo**, la nouvelle secrétaire, et je suis ravie de faire partie de votre association !

Je suis votre interlocutrice principale pour tout ce qui concerne les demandes de documentation ou d'information, la logistique et l'organisation de vos événements en régions. J'ai choisi de rejoindre votre association parce que votre combat m'a touchée. Ayant déjà eu une expérience significative dans le milieu associatif, je trouve très intéressant de travailler pour des personnes qui en ont besoin et pour lesquelles je sais que le travail réalisé sera utile. Les missions de l'AFH qui sont d'aider les personnes atteintes d'hémophilie et de la maladie de Willebrand sont des missions nobles méritant qu'on s'y intéresse. Je souhaite m'investir fortement dans cette association, et cela passe par une bonne organisation : j'essaierai de répondre le plus rapidement possible à toutes vos demandes, d'être réactive et organisée afin de vous donner satisfaction. J'espère faire un long chemin en votre compagnie, et que cette collaboration se passe aussi bien que possible !



# Congrès médical et journée familiale du comité Pays de la Loire-Poitou-Charentes



60 personnes se sont réunies pour le congrès du comité PL-PC de l'AFH.

1• Maladie des articulations, provoquée par des saignements répétés.

2• Consultez la brochure ci-jointe « Les maladies hémorragiques rares : guide pour mieux comprendre les traitements actuels et faire le point sur les voies de recherche en cours ».

3• Lire l'article pages 16 à 18.

Le 14 septembre à Piriac-sur-Mer (44), il fallait être courageux pour braver le temps exécrable de ce samedi matin. Ce sont une soixantaine de personnes, arrivées détrempées, que nous avons accueillies avec un café réparateur. Chacun et chacune remis sur pied, le congrès médical a pu commencer.

Le premier exposé du Dr Laurent Ardillon nous a permis de découvrir les nouvelles problématiques liées au vieillissement que peuvent connaître nos aînés. Nous avons poursuivi par un exposé sur la douleur des arthropathies<sup>1</sup> chez l'hémophile par le Dr Marc Dauty. Geneviève Piétu, animatrice du groupe de travail « Recherche » de l'AFH, a ensuite présenté un état des lieux<sup>2</sup> ainsi que l'engagement de notre association à soutenir les travaux de recherche. Nous avons fini cette matinée par un point du Dr Marc Trossaert sur les études concernant les produits antihémophiliques. Pas de médicament miracle en perspective dans l'immédiat, mais des améliorations de la durée de vie des produits, permettant d'augmenter les intervalles entre deux injections<sup>3</sup>.

Après le repas, contraints par le mauvais temps, nous avons dû remplacer la sortie accrobranche pour les jeunes par une séance au cinéma de Guérande, tandis que les moins jeunes s'organisaient en petits groupes pour participer à des tables rondes portant sur différentes thématiques.

Vers 17h, l'assemblée générale de notre association commençait par un hommage rempli d'émotion à Marie-Thérèse Sauvetre, qui nous a quittés cette année. Puis nous avons présenté le rapport d'activités 2013 et les finances de notre comité, qui se portent bien.

Des crêpes (Nord-Loire oblige – pour ne pas dire Bretagne), un petit spectacle d'une conteuse accompagnée de sa guitare, nous ont permis de finir cette journée sous le signe de la joie et de la bonne humeur.

Après une bonne nuit de sommeil, un soleil radieux dans le ciel et un bon petit-déjeuner dans l'estomac, nous voici partis en convoi découvrir la région de la Brière toute proche. Cette journée a commencé par la visite du parc ornithologique de Ker Anas (canard, en breton), plein de... canards ! La présentation du parc et de la vie en Brière au millénaire dernier nous est contée avec beaucoup d'humour par le maître des lieux, pur produit local.

L'heure du repas approchant, nous nous sommes dirigés vers le restaurant. Tous ont pu échanger avec leurs voisins de table autour de mets régionaux. La digestion s'est faite dans une barge qui, dirigée par un gardien du parc de la Brière, nous a fait découvrir l'une des plus grandes étendues de marais de France. C'est dans un dédale de canaux que nous avons découvert la faune et la flore de la région. La journée s'est terminée par un petit goûter avant que chacun ne retourne chez lui, nous l'espérons heureux de son week-end.

Nous remercions Isabelle Antoine pour l'organisation de ce week-end sous le soleil, et sous la pluie bretonne.

A l'année prochaine !

**Bernard Daviet**

Président du comité Pays de la Loire-Poitou-Charentes

## Souvenir d'un ami



Jean-Louis Gourcy, ancien président du comité Auvergne de l'AFH.

Le 6 février dernier, à l'âge de 60 ans, notre ami et ancien président du comité Auvergne de l'AFH Jean-Louis Gourcy, est décédé d'une crise cardiaque foudroyante.

Papa d'un petit garçon hémophile, Jean-Louis avait pris la présidence du comité en 1997 pour continuer et garantir, avec le Dr Etienne Subtil, la prise en charge médicale et l'accompagnement social des hémophiles en Auvergne.

C'est en 2005 que j'ai rejoint le bureau et assisté Jean-Louis. Je me souviens des manifestations que nous organisons ; Jean-Louis était toujours proche des familles et des malades. Pendant les quatre années passées à ses côtés, j'ai pu mesurer sa gentillesse, son implication et sa disponibilité : toujours prêt à rendre service, heureux d'apporter un soutien, un réconfort, une aide. Jean-Louis est resté douze ans à soutenir les hémophiles. Aujourd'hui, nous le remercions et nous lui transmettons toute notre reconnaissance pour l'aide qu'il nous a apportée.

A partir de 2009, Jean-Louis avait décidé de s'éloigner du comité, et il m'avait demandé de prendre le relais. Depuis ce moment-là, je n'ai plus revu mon ami et aujourd'hui, je mesure d'autant plus l'essentiel « Carpe diem »\* de la vie. Profitons des instants du jour, profitons de nos amis, profitons des situations, car l'on ne sait jamais ce que demain sera. Adieu mon ami.

Je remercie tous ceux qui se sont manifestés pour témoigner leur reconnaissance et leur amitié.

**Christophe Besson**

Président du comité Auvergne

\* Locution latine, littéralement « Cueille le jour », couramment utilisée pour signifier « Profite du moment présent ».

## Le comité Nord-Pas-de-Calais célèbre la nouvelle année à l'Ecole du cirque de Lomme



A l'occasion des fêtes de fin d'année, le comité Nord-Pas-de-Calais a convié ses adhérents à une sortie conviviale le 30 novembre dernier. 35 personnes se sont ainsi réunies pour assister à un spectacle de l'Ecole du cirque de Lomme, réalisé principalement par des élèves de l'école, mais qui n'avait rien à envier aux plus grands dans ce domaine. Jongleries, danses, contorsions, portés acrobatiques, prouesses sur mât chinois, ont ravi nos spectateurs, aussi bien les petits que les grands. Nous nous sommes ensuite tous retrouvés autour d'un bon repas dans un restaurant tout proche pour discuter des actions passées et de l'année à venir.

**Audrey Ledru**

Présidente du comité Nord-Pas-de-Calais

# Un vent d'Irlande souffle sur l'Alsace au profit de l'association



Un vent d'Irlande a soufflé sur l'Alsace du 6 au 10 novembre 2013. *The Sally Garden*, un trio de Dublin composé de deux guitares et d'un violon, a diffusé sa musique traditionnelle à Colmar, Logelheim et Mulhouse. Cette tournée musicale était organisée par l'Amicale des 5 nations, grâce à ses nombreux partenaires, afin de récolter des fonds au profit du comité Alsace de l'AFH.



En 2009, une tournée semblable avait déjà été organisée avec succès et avait permis de récolter 4 000 €. En fin d'année dernière, c'est lors de la soirée de Logelheim, festive et riche en amitiés et en émotion, que le comité Alsace s'est vu remettre par l'Amicale des 5 nations un chèque de 9 000 €, bénéfice des différentes soirées mais aussi recette de la vente de vêtements sportifs et du traditionnel calendrier réalisés par ces passionnés de rugby. Pendant l'événement, la générosité des personnes présentes était telle que le chèque final a atteint 10 000 € !

Bien que notre comité ait un grand besoin de soutien pour pouvoir proposer des manifestations à ses adhérents, les membres du comité Alsace ont décidé qu'une partie de la somme serait reversée à la recherche sur l'hémophilie et les troubles rares de la coagulation, sans oublier la colonie de vacances de l'AFH.

Merci à nos amis de l'Amicale des 5 nations !

Cathy Bronner  
Présidente du comité Alsace

## Attachez vos ceintures !

Permettez-nous de vous présenter le programme 2014 de la commission « Jeunes adultes », concocté par une nouvelle équipe de choc !

► D'ici au 17 avril, deux concours sont ouverts à tous pour parler et faire parler des troubles de la coagulation à l'occasion de la Journée mondiale de l'hémophilie<sup>1</sup> : un **concours de nouvelles** et un **concours de photos**. Quel que soit votre âge, lancez-vous sur le thème « Se faire un sang d'encre »<sup>2</sup>.

► Rencontre d'été : réservez dès aujourd'hui vos 20, 21 et 22 août ! Fred, membre de la Commission, nous accueille en Alsace pour randonner dans le parc naturel des Vosges du nord, réserve mondiale de la biosphère, échanger autour d'un barbecue, et passer une journée à l'Europa park. Tous les jeunes de 18 ans et plus concernés par un trouble de la coagulation (hémophiles, Willebrand, porteuses, etc.) sont les bienvenus, accompagnés s'ils le souhaitent.

► Enfin, une rencontre sera organisée pendant un **week-end à l'automne**, à Paris ou en région, selon les demandes que vous nous ferez !

Et bien sûr, nous vous attendons nombreux au **congrès national** de l'AFH à Pau (du 27 au 29 juin)<sup>3</sup> et sur le groupe Facebook de la commission « Jeunes adultes » !

► Pour toute information, n'hésitez pas à nous contacter : [cja@afh.asso.fr](mailto:cja@afh.asso.fr)

Pssst : Nous recrutons ! Si tu es prêt à donner quelques heures de ton temps occasionnellement, et que tu as entre 18 et 30 ans, rejoins-nous !

Dorothee Pradines  
Responsable de la commission « Jeunes adultes »

1 • Lire l'article pages 6 et 7.

2 • Règlements des 2 concours : [http://afh.serenity-ff.com/afhjeunesadultes/docs/2014\\_ConcoursNouvelles.pdf](http://afh.serenity-ff.com/afhjeunesadultes/docs/2014_ConcoursNouvelles.pdf) et [http://afh.serenity-ff.com/afhjeunesadultes/docs/2014\\_ConcoursPhotos.pdf](http://afh.serenity-ff.com/afhjeunesadultes/docs/2014_ConcoursPhotos.pdf)

3 • Lire l'article page 3.

Conseil d'administration  
Dimanche 29 juin à Pau.  
Samedi 20 et dimanche 21 septembre à Paris.  
Samedi 13 décembre à Paris.

Education thérapeutique du patient  
Samedi 5 avril : formation PPR.

Commission « Jeunes adultes »  
Du 20 au 22 août : randonnée dans le parc naturel des Vosges.

Commission « Femmes »  
Samedi 17 mai : réunion à Paris.  
Dimanche 12 octobre : réunion à Paris.

### Congrès national 2014

Du vendredi 27 au dimanche 29 juin à Pau.

Comité Alsace  
Samedi 12 avril : JMH\*\* à Rhodes.  
Samedi 17 et dimanche 18 mai : courses de Strasbourg Europe.

Comité Bretagne  
Dimanche 27 avril : AG\*.  
Samedi 5 et dimanche 6 juillet : rencontre du comité.

Comités Centre et Ile-de-France  
Dimanche 6 avril : JMH\*\* à Chartres.

Comités Champagne-Ardenne, Haute-Normandie et Picardie  
Samedi 12 avril : JMH\*\* à Amiens.

Comités Limousin, Aquitaine, Auvergne, Midi-Pyrénées  
Samedi 12 et dimanche 13 avril : JMH\*\* à Limoges.

Comité Lorraine  
Samedi 12 avril : JMH\*\* à Rhodes.  
Vendredi 2 mai : JMH\*\* et match de handball « Grand-Nancy vs. Billère ».  
Dimanche 15 juin : AG\* à Nancy.

Comité Nord-Pas-de-Calais  
Samedi 5 avril : AG\*.  
Du 14 au 19 avril : JMH\*\* au Relais santé de Wasquehal.  
Samedi 17 mai : JMH\*\* au parc Pairi Daiza en Belgique.  
Samedi 24 mai : petit-déjeuner santé à Lille.  
Samedi 20 septembre : petit-déjeuner santé à Lille.

Comité Basse-Normandie  
Vendredi 11 et samedi 12 avril : JMH\*\* à Caen.

Comité PACA-Corse  
Samedi 5 et dimanche 6 avril : JMH\*\* à Hyères-les-Palmiers.

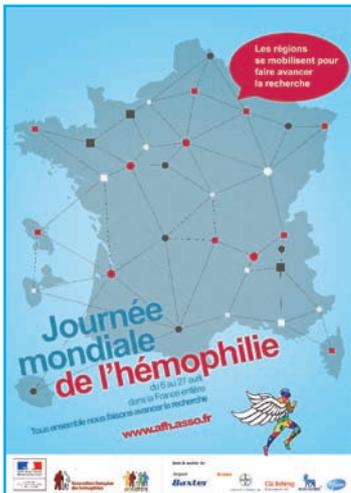
Comité Pays de la Loire-Poitou-Charentes  
Samedi 12 avril : JMH\*\* sur le site Les mines d'argent à Melle.  
Samedi 21 juin : CA\*\*\* à L'Houmeau.  
Samedi 20 et dimanche 21 septembre : congrès médical, journée familiale et AG\* à L'Épine sur l'île de Noirmoutier.  
Samedi 18 octobre : CA\*\*\* aux Herbiers.

Congrès mondial de l'hémophilie  
Du 11 au 15 mai 2014 à Melbourne, Australie.

Congrès européen de l'hémophilie  
Du 3 au 5 octobre à Belfast, Irlande.

# Journée mondiale de l'hémophilie 2014

## Tous ensemble nous faisons avancer la recherche



Les comités régionaux de l'AFH se mobilisent et organisent à l'occasion de la Journée mondiale de l'hémophilie (JMH) 2014 des événements dans toute la France pour soutenir la recherche. C'est aujourd'hui et maintenant que nous avons besoin de vous pour que « Tous ensemble, nous fassions avancer la recherche » !

**T**out au long de l'année, l'AFH collabore avec les autorités sanitaires et les professionnels de santé pour améliorer la vie des patients atteints d'un trouble rare de l'hémostase et de leur famille. Pourtant, ces troubles rares de la coagulation restent peu (et mal) connus du grand public.

Aujourd'hui, de nouvelles thérapeutiques encore à l'étude apportent aux patients et à leurs proches l'espoir d'une amélioration de leur quotidien par la diminution de la fréquence de prise des traitements, voire dans un avenir plus lointain, l'espoir d'une guérison. C'est pourquoi, pour la 2<sup>e</sup> année consécutive, l'AFH a choisi de consacrer la JMH à la recherche<sup>1</sup>.

Lors de la JMH 2013, l'AFH avait initié cette culture de la recherche à travers une action nationale autour du thème « Tous ensemble pour que la recherche avance ». Plus de 1 000 personnes – grand public, patients, familles, professionnels de santé et institutions – s'étaient réunies dans un village d'exposition sur le parvis de la gare Montparnasse pour assister à une conférence scientifique, visiter une exposition sur la recherche et participer à des activités ludiques<sup>2</sup>. Une année s'est écoulée et les actions de l'AFH dans le domaine de la recherche ont évolué. C'est pourquoi nous pouvons être fiers de dire qu'aujourd'hui « **Tous ensemble nous faisons avancer la recherche** », mais il est encore nécessaire de se mobiliser pour aller encore plus loin et concrétiser les objectifs que nous nous sommes fixés.

L'organisation d'une JMH autour de la recherche est d'autant plus forte cette année que le conseil d'administration de l'AFH a décidé le 15 décembre dernier de s'engager à soutenir la recherche par la mise en place en 2014 de recherches actives de fonds pour financer des programmes de recherche. L'AFH se lance donc dans une toute nouvelle aventure !

Après la mobilisation nationale 2013, celle de l'AFH autour de la recherche se fait régionale. En 2014, les comités régionaux de l'AFH s'unissent et se mobilisent pour que tous ensemble, nous fassions avancer la recherche !

C'est aujourd'hui et maintenant que nous avons besoin de vous, qu'il faut se mobiliser pour aider l'AFH dans ses ambitions de guérir les maladies rares de l'hémostase.

**Bérengère Blaize**  
Chargée de communication

**Marion Berthon-Elber**  
Directrice générale

### Chartres, ville lumière et historique

Dimanche 6 avril de 9h30 à 17h



Les comités Centre et Ile-de-France se retrouvent à Chartres pour une journée d'échange et de partage. La matinée sera consacrée à plusieurs ateliers qui s'articuleront autour des questions de la recherche, de l'éducation thérapeutique du patient ou encore des femmes, tandis que l'après-midi sera dédiée à une visite de la bien célèbre cathédrale de Chartres et de sa vieille ville médiévale.

### J'aime à revoir ma Normandie

Les 11 et 12 avril



Le comité Basse-Normandie invite patients, familles et grand public à participer à ses actions organisées pendant deux jours. Le vendredi, retrouvez les bénévoles du comité sur leur stand d'information situé dans le hall du CHU de Caen et le samedi, assistez à une conférence médicale sur le thème de la recherche. L'après-midi sera conviviale, avec la visite d'un village viking et de l'accrobranche pour petits et grands !

### Après-midi studieuse sur l'île de la Réunion

Samedi 19 avril



Le comité Réunion et le CTH de l'île convient enfants et parents à participer à une après-midi studieuse et éducative autour d'ateliers accessibles à tous : perception et prise en charge de la douleur, éducation thérapeutique du patient, partage d'expériences, etc. Autant de thèmes qui permettront aux familles d'échanger sur la prise en charge des troubles rares de la coagulation au quotidien.

## 2 rendez-vous en Nord-Pas-de-Calais

Du 14 au 19 avril à Wasquehal et le 17 mai en Belgique

Cette année, le comité Nord-Pas-de-Calais propose 2 actions :

- La première, à destination du grand public, se tiendra au Relais santé de Wasquehal où les bénévoles du comité tiendront un stand d'information pour présenter les différents aspects des maladies hémorragiques rares.
- La deuxième, à destination des adhérents du comité, sera orientée autour d'une rencontre familiale au parc Pairi Daiza en Belgique.



## Vous n'aurez pas l'Alsace et la Lorraine !

Samedi 12 avril de 10h30 à 17h

Les comités Alsace et Lorraine vous invitent à passer une journée conviviale et informative au parc animalier de Sainte-Croix à Rhodes. Au programme : détente, rencontre et un peu de sérieux avec une réunion d'information sur les activités de l'AFH, la recherche et la JMH.



## L'Alsace court pour la recherche

Samedi 17 et dimanche 18 mai

Le comité Alsace participe aux courses de Strasbourg Europe, et il tiendra un stand d'information avec une exposition sur la recherche pour les troubles rares de l'hémostase.



## Journée d'information et activités conviviales chez les Picards

Samedi 12 avril

Les comités Champagne-Ardenne, Haute-Normandie et Picardie se réunissent à Amiens à l'occasion de la JMH pour une journée de rencontre intercomités. Ils vous proposent d'échanger durant la matinée autour d'ateliers médico-associatifs sur la recherche notamment, et de profiter de l'après-midi pour faire connaissance avec quelques parties de bowling.



## La Lorraine, une JMH sportive

Vendredi 2 mai à 20h

Le comité Lorraine organise, en collaboration avec le « Grand-Nancy ASPTT HB », une grande soirée sous le signe du sport et de la solidarité ! Venez nombreux assister au match de handball Grand Nancy vs Billère, et rencontrer les membres du comité lorrain sur leur stand d'information. Après le match, rendez-vous pour un dîner convivial au Bowling des nations !



## Matinée presse et après-midi ludique à Melle

Samedi 12 avril

Le comité Pays de la Loire-Poitou-Charentes invite la presse et toutes les personnes intéressées à rencontrer les membres de l'association et les médecins du centre de traitement de l'hémophilie de Nantes autour de thématiques scientifiques et associatives samedi 12 avril au matin à la salle municipale de Melle. Après un déjeuner au restaurant « Les Glycines », le comité vous emmènera visiter les mines d'argent, site classé par l'Unesco.



## Le Grand Ouest se réunit à Limoges

Les 12 et 13 avril

Les comités Limousin, Aquitaine, Auvergne et Midi-Pyrénées profitent, pour la 2<sup>e</sup> année consécutive, de la JMH pour organiser un grand week-end entre adhérents du Grand Ouest. Une occasion d'aborder tous ensemble des thèmes comme la prophylaxie, la rhumatologie ou encore la question de la recherche sous forme de conférences et d'ateliers, en présence de 2 chercheurs et de l'animatrice du groupe de travail « Recherche » de l'AFH. Le dimanche, place aux activités conviviales avec une visite de Limoges et de son musée de porcelaine. Ce sera visite de l'aquarium pour les enfants !



## Sous les palmiers de Hyères

Les 5 et 6 avril

Le comité PACA-Corse convie ses adhérents et ceux du comité Languedoc-Roussillon à passer le week-end à Hyères les Palmiers et à profiter du soleil varois pour une visite de la ville et des salins. Ces deux jours seront également l'occasion d'aller à la rencontre du grand public et de le sensibiliser à notre cause. Après une soirée à l'hôtel Plein sud, le dimanche sera consacré à des échanges autour de la prise en charge de troubles rares de la coagulation, et à l'assemblée générale du comité.



## Pour davantage d'informations sur les événements régionaux et pour vous inscrire, 2 options :

- contactez directement le comité régional dont vous dépendez (voir la liste et les coordonnées au dos de la revue) ;
- rendez-vous sur le site Internet de l'AFH ([www.afh.asso.fr](http://www.afh.asso.fr)) où vous pourrez télécharger les bulletins d'inscription de chaque initiative régionale.

Les comités Alpes, Rhône-Alpes, Bourgogne-Franche-Comté, Martinique et Guadeloupe sont en train d'organiser eux aussi leurs événements pour la JMH. Retrouvez-les dans les prochaines semaines sur le site Internet de l'AFH : [www.afh.asso.fr](http://www.afh.asso.fr)



## Buddy award : le prix du meilleur ami Une journée féerique à Disneyland !

Du 15 septembre au 30 novembre 2013, l'AFH organisait le jeu-concours « Buddy award : le prix du meilleur ami »<sup>1</sup>, qui visait à reconnaître le soutien essentiel apporté par l'entourage des enfants présentant des troubles hémorragiques rares. Les grands gagnants ont remporté une journée inoubliable au parc d'attractions Disneyland Paris en compagnie de leur meilleur ami.

Récit de leurs aventures !

Après examen des nombreuses candidatures toutes aussi touchantes les unes que les autres, le jury du concours « Buddy award : le prix du meilleur ami » a dû se résoudre à faire un choix : ce sont donc Axel et son frère Hugo, Maxime et son cousin Baptiste, Clovis et son ami Mathis, Tom et sa sœur Lucie, Jean et son papa Didier, Zacharie et son ami Sacha, Timothé et son ami Thomas, et enfin Enzo et son frère Fabien qui se sont retrouvés samedi 4 janvier au parc Disneyland Paris pour une journée féerique.

Le rendez-vous était fixé à 9h30 devant le parc d'attractions. C'est sous une pluie battante, qui heureusement ne dura pas, que nous nous sommes retrouvés pour commencer cette journée. Une fois les formalités effectuées, plusieurs groupes se sont formés en fonction des âges, et c'est sous l'œil bienveillant de Danielle Dazet, notre infirmière bénévole, que tout ce petit monde s'est rué sur les différentes attractions du parc.

Grâce aux passes « coupe-files »<sup>2</sup> fournis par Disneyland, ce n'est pas 3 ou 4 attractions que les enfants ont pu faire, mais plus d'une dizaine : Buzz l'éclair, *It's a small world*<sup>3</sup>, Autopia, Blanche Neige, Le voyage de Pinocchio, Peter Pan, Le train de la mine, et pour les plus courageux La maison hantée, Indiana Jones et l'incontournable Space mountain !

Arrive midi, et nous nous retrouvons tous au Chalet des marionnettes, l'estomac creux, pour le déjeuner ! Après quelques frites, une poignée de nuggets<sup>4</sup> et une glace pour les gourmands, nous remettons les diplômes du meilleur ami aux enfants qui se réunissent tous pour une photo souvenir. Impossible de les tenir plus longtemps, il faut se séparer à nouveau en plusieurs groupes, direction de nouvelles aventures !

Vers 19h, c'est épuisés que petits et grands trouvent la sortie du parc, des étoiles pleins les yeux et les pieds en compote, mais surtout avec plein de nouvelles histoires à raconter aux copains lundi matin ! Cette journée a permis aux meilleurs amis qui ont eu la chance d'être sélectionnés de se rapprocher et de partager de grandes aventures au-delà de la maladie !

Bérengère Blaize  
Chargée de communication

1 • Avec le soutien de Novo Nordisk.

2 • Passes qui permettent d'accéder aux attractions plus rapidement et d'éviter les longues heures d'attente.

3 • « C'est un petit monde. »

4 • Croquettes de poulet.



« Je tenais à vous remercier pour cette superbe journée passée grâce à vous au parc Disneyland. Les garçons en ont bien profité et sont revenus avec des souvenirs plein la tête. Le passe nous a permis de faire beaucoup d'attractions, c'était vraiment une belle journée !  
Les parents de Zacharie, venu avec son ami Sacha »

« Cette journée a été géniale, comme quoi même si l'hémophilie est toujours avec moi, on peut la mettre de côté pour faire plein de trucs sympas et passer des moments avec ses amis et sa famille !  
Clovis et Mathis (5 ans) »

« Nous vous remercions pour l'organisation de cette journée, les garçons se sont bien amusés, et cela restera pour eux un très bon souvenir partagé à deux.  
Les parents de Maxime, venu avec son cousin Baptiste »

# Stage d'éducation thérapeutique du patient du 15 au 17 novembre dernier à Noirmoutier

Depuis une quarantaine d'années, l'AFH et ses comités régionaux organisent des stages d'éducation thérapeutique du patient (ETP). Autrefois appelés stages d'autotraitement, ces formations ont vocation à aider les parents, les adolescents et les adultes à apprendre le geste de l'autoperfusion, mais surtout à apprendre à vivre avec la maladie<sup>1</sup>. Voici l'exemple, à Noirmoutier, du stage organisé en novembre 2013 par le comité Pays de la Loire-Poitou-Charentes.

**C'**est en début de soirée, le vendredi 15 novembre 2013, que se sont retrouvés les participants du stage d'éducation thérapeutique du patient organisé conjointement par l'équipe médicale du centre de traitement de l'hémophilie (CTH) de Nantes et le comité Pays de la Loire-Poitou-Charentes (PL-PC) de l'AFH, au centre « Les quatre vents » à l'Epine sur l'île de Noirmoutier. Le groupe se composait de 23 adultes et de 22 enfants, soit 12 familles concernées par l'hémophilie. 3 élèves infirmières étaient également présentes pour assurer la garderie, ainsi que 4 infirmières, 4 médecins et 1 psychologue. Au total, 57 personnes ont fait le déplacement de tout l'ouest de la France (de Tours à la région de la Ferté-Saint-Aubin, en passant par Nantes, Le Mans, Argenvilliers, Beaupréau, la Vendée, la Charente-Maritime, et même la région lyonnaise) pour participer à ce stage d'ETP.

La journée du samedi a débuté par une séance pratique sur la prophylaxie<sup>2</sup> pour deux jeunes, Marc et Luc. Les injections ont été réalisées par leurs parents. Ensuite, pour les deux journées de stage, les participants se sont répartis en 4 groupes pour participer à tour de rôle à 4 ateliers d'1h30 chacun :

## ► Atelier psychologue : groupe de parole

Partage des expériences de chacun autour de l'enfant hémophile et de son entourage, par petits groupes de 7 à 10 personnes. Une fois la glace rompue, des discussions autour de l'annonce de la maladie se sont développées : ressenti personnel, réaction de la famille, de l'école et de l'entourage.

## ► Atelier médecin-kinésithérapeute : qui, que, quoi ?

Echange sur les bonnes pratiques avec le support d'un quizz. Développement des questions autour des problématiques majeures de l'hémophile.

## ► Atelier médecin : la prophylaxie

A partir de l'analyse des traitements de chaque enfant, les participants ont revu l'évolution des taux de facteurs de coagulation pendant les traitements prophylactiques. Des discussions ont eu lieu sur les différents médicaments existants, et sur la recherche en matière de médicaments à durée de vie allongée<sup>3</sup>.

## ► Atelier infirmier : les hématomes<sup>4</sup> et hémarthroses<sup>5</sup>

Echanges grâce au jeu « Taboo »<sup>6</sup> sur les mots-clefs dans la vie d'un hémophile pour travailler sur les concepts d'hémarthrose et d'hématome avec la participation de tous. Les participants ont également appris la manipulation des produits d'injection.

La première journée s'est terminée par un spectacle de magie, commencé autour du repas et poursuivi dans la salle de spectacle. Les plus petits, bouche bée, les adolescents, à la recherche du « comment il fait ? », et même le corps médical qui donne de sa personne pour la plus grande joie de tous : la soirée était géniale ! L'ensemble des participants est ensuite tombé dans les bras de Morphée en repensant au monde merveilleux qu'il venait de découvrir. En un mot, c'était magique !

La deuxième journée, s'est achevée par la traditionnelle photo de groupe et le bilan du week-end pour les médecins, infirmières, kinésithérapeutes et le psychologue d'une part, les participants d'autre part.

Au final, le week-end fut très positif et très instructif grâce aux échanges que chacun a pu avoir avec les autres, à la convivialité du lieu, à la qualité de nos intervenants et à la précieuse participation de nos « gardiennes d'enfants ». Merci à tous pour votre participation et à bientôt pour un nouveau stage d'ETP auquel nous intégrerons un Patient ou un Parent ressource qui participera à la préparation et à la coanimation des ateliers<sup>7</sup>.

**Bernard Daviet**

Président du comité Pays de la Loire-Poitou-Charentes



Le stage d'ETP a réuni 57 participants.



4 ateliers étaient organisés avec des médecins, des kinésithérapeutes, des infirmières et un psychologue.



- 1 • Lire la revue n° 200 (2) pages 33 à 35.
- 2 • Traitement qui a pour objectif de prévenir les hémarthroses, la survenue d'articulations cibles plus sujettes aux saignements et le développement d'une arthropathie précoce, par injection préventive du facteur antihémophilique manquant. Lire la revue n° 203 pages 16 à 19.
- 3 • Lire l'article pages 16 à 18.
- 4 • Epanchement de sang dans un muscle ou un organe et manifestation « classique » de l'hémophilie.
- 5 • Epanchement de sang dans une articulation (genou, cheville, coude, etc.) et principale manifestation d'une hémophilie sévère.
- 6 • Jeu de société dont le but est de faire deviner un mot à ses coéquipiers sans utiliser certains mots interdits, ou « tabous ».
- 7 • Lire la revue n° 202 page 22.

## La formation des membres associatifs : une nécessité aujourd'hui et un engagement pour l'avenir

L'AFH appuie son action sur 4 piliers prioritaires : l'éducation thérapeutique du patient ; les actions de solidarité internationale ; la recherche ; et le soutien aux régions par le développement des comités régionaux et des antennes. Ces 4 axes, pour être mis en œuvre, doivent s'appuyer sur des actions de formation graduées et adaptées aux bénévoles qui permettront également à notre association d'accroître ses compétences. Les formations doivent à la fois être attractives pour les bénévoles, bénéficier à tous et servir notre politique associative. Pour s'assurer de leur contenu, elles sont le plus souvent développées avec le soutien d'institutions ou d'organisations partenaires.



Les administrateurs de l'AFH participent à des ateliers sur la recherche organisés les 14 et 15 décembre dernier.

**A**insi en 2014, dans le domaine de la recherche, l'AFH organise du 25 au 27 avril un atelier « Tous chercheurs » mis en place en collaboration avec l'association du même nom. Une douzaine de membres de l'AFH se formeront aux techniques et aux enjeux de la recherche en hémophilie. Les bénévoles de l'AFH vont ainsi se familiariser avec ce nouveau domaine d'activité dans lequel notre association fonde de nombreux espoirs. Ils sauront être les ambassadeurs de notre action associative auprès des adhérents.

En éducation thérapeutique du patient<sup>1</sup>, pour la deuxième année consécutive, une dizaine de bénévoles sont en formation jusqu'au mois d'avril, pour devenir des Patients ou des Parents ressources<sup>2</sup>. Par leur formation de 40 heures, en partenariat avec Format santé et l'université Paris-13, ils apprennent des techniques d'animation qui leur permettent de travailler en collaboration avec des professionnels de santé pour aider patients et parents à apprendre à vivre avec leur maladie.

Pour soutenir le développement de ses antennes et comités régionaux, l'AFH organisera au mois de septembre prochain un séminaire de travail rassemblant des représentants des

23 comités régionaux et des 7 commissions de l'Association, dans le but principal de partager leurs expériences et de se former aux bonnes pratiques de terrain au service des malades et de leurs proches.

Mais notre action ne s'arrête pas là. L'AFH, depuis 2010, estime essentiel de conserver et de développer un savoir et des compétences dans le domaine de la sécurité transfusionnelle. C'est pourquoi, en partenariat avec l'Institut national de la transfusion sanguine (INTS), l'AFH forme chaque année depuis 4 ans une dizaine de bénévoles<sup>3</sup>. En 2014, un nouveau cycle de 4 journées de formation est engagé et débutera dès le mois de mars.

Enfin, avec le développement de l'Afath<sup>4</sup>, l'AFH devra s'engager dans une formation à destination des bénévoles des régions et des pays qui s'impliqueront dans ce projet. Cette action fera l'objet d'une première initiative dès 2014 et se développera en 2015.

Mettre en place des actions de formation, c'est imaginer aussi à quels défis l'AFH sera confrontée dans un avenir proche.

**La prochaine génération.** Comme toute association, l'AFH est confrontée à l'enjeu du renouvellement de ses cadres bénévoles. Grâce au Consortium européen de l'hémophilie (EHC) au mois de juillet prochain, deux jeunes bénévoles de l'AFH de 25 ans participeront à une formation de 3 jours avec d'autres jeunes hémophiles européens et développeront leurs compétences pour construire des actions de plaidoyer auprès des autorités de santé et pour aider au développement des associations de patients. De même, à l'occasion du Congrès mondial de l'hémophilie à Melbourne au mois de mai prochain, deux jeunes hémophiles se formeront aux enjeux mondiaux des troubles rares de l'hémostase.

**La santé face à l'économie.** Les patients atteints de maladie chronique ont besoin, tout au long de leur vie, de traitements dont certains peuvent s'avérer très coûteux. C'est particulièrement vrai dans le domaine des troubles rares de l'hémostase. De nouveaux traitements et stratégies thérapeutiques existent ou sont sur le point d'arriver sur le marché, et les financeurs se demandent comment contrôler et encadrer leur coût sans que cela se fasse au détriment des patients<sup>5</sup>. En conséquence, les autorités de santé requièrent de plus en plus, avant toute décision, la collecte et l'analyse de données médico-économiques et scientifiques. S'agissant de l'hémophilie, la rareté de la maladie, le manque de données disponibles et le fait que cette maladie touche autant les enfants et leur famille que les adultes constituent autant de défis. Si nous ne voulons pas que des choix soient faits sans que nous soyons consultés, si nous voulons que notre voix soit entendue, ces nouvelles questions doivent être celles de l'AFH. C'est pourquoi l'AFH, pionnière en la matière, prend l'initiative d'engager au dernier trimestre 2014, en partenariat avec une université, une formation à destination de ses membres qui s'intéressent aux enjeux économiques liés à la santé<sup>6</sup>.

Former, c'est aussi penser les modes de formation. L'avenir sera donc d'intégrer des méthodes innovantes de formation, notamment via l'outil Internet non seulement pour les bénévoles investis au sein de l'AFH mais aussi pour tous les adhérents. Nous vous en reparlerons très bientôt. Alors oui : pour l'AFH, la formation de tous, c'est un engagement pour l'avenir.

1 • Lire l'article page 9.

2 • Lire la revue n° 202 page 22.

3 • Lire la revue n° 197 page 7.

4 • Lire l'article page 11.

5 • Lire l'article pages 16 à 18.

6 • Avec le soutien de Baxter.

# L'AFH, moteur d'une alliance pour une meilleure prise en charge des hémophiles d'Afrique



L'Afath, « Alliance France et Afrique pour le traitement de l'hémophilie », va bientôt devenir réalité. Projetée depuis 2011 par l'AFH et l'Institut national de la transfusion sanguine (INTS), cette alliance doit permettre à 15 pays d'Afrique francophone subsaharienne de bénéficier d'un programme de formation à destination des professionnels de santé et des patients. Ce programme, qui se déroulera sur 7 ans, permettra de constituer un premier niveau de diagnostic et de prise en charge soignante. Il permettra également aux patients de créer des associations membres à part entière de la Fédération mondiale de l'hémophilie (FMH).

## Un diagnostic pour bénéficier des programmes de la FMH

Dans beaucoup de pays en voie de développement, et particulièrement en Afrique noire, les troubles rares de la coagulation sont méconnus. Ceux qu'ils touchent se retrouvent confrontés à l'absence de moyens de diagnostic, de traitements efficaces, de personnel formé. Les malades qui sont « pressentis » hémophiles ne bénéficient d'aucune réelle prise en charge. Ils doivent se contenter, en cas d'accident hémorragique, de transfusion sanguine ou de plasma. Les nombreux autres patients, inconnus des services de santé, sont livrés à une société qui ignore complètement les précautions à prendre à leur égard. Dans la plupart des villages, la circoncision, obligatoire pour les jeunes garçons, est pratiquée à domicile sans appui médical et constitue la cause de mortalité principale des personnes hémophiles en Afrique. Les hémarthroses\*, mises au rang de foulures ou d'entorses, ne sont pas toujours traitées dans les hôpitaux mais parfois uniquement par le guérisseur du village qui, très souvent, a pour seule technique les massages à l'eau chaude et au beurre de karité. Et pire encore, l'hémophile venant de subir ces massages très douloureux rentre chez lui sans antalgique pour apaiser son mal. Tel est le quotidien des hémophiles dans beaucoup de pays d'Afrique subsaharienne.

Faute de diagnostic, il n'y a pas de chiffres sur le nombre exact de personnes atteintes d'hémophilie dans ces pays. Faute de diagnostic, il n'y a pas de « patients hémophiles », donc pas d'associations de patients hémophiles, et donc pas d'adhésion possible à la FMH. En effet, seule une association de patients peut bénéficier des programmes de la FMH, ce qui constitue un obstacle de taille pour bon nombre de pays : ces pays n'entrent pas dans le champ d'intervention de la FMH, alors que ce sont ceux qui en auraient le plus besoin. L'objectif proposé par l'Afath d'une adhésion à la FMH est crucial : au travers d'une association membre, elle permet à tout un pays de bénéficier des programmes d'aide de la Fédération.

## L'Afath, 7 ans d'alliance

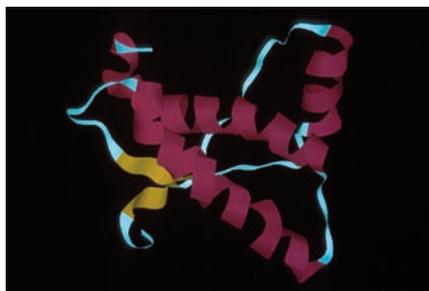
C'est en partant de ce triste constat que les premières étapes d'un partenariat pour la prise en charge des patients hémophiles en Afrique francophone subsaharienne ont été partagées le 11 juillet 2012 à Paris entre 15 directeurs des centres de transfusion sanguine d'Afrique francophone subsaharienne établis en réseau, le Centre de référence de l'hémophilie et autres maladies hémorragiques constitutionnelles (CRMH), le Centre de référence de la maladie de Willebrand (CRMW), la Coordination médicale pour l'étude et le traitement des maladies hémorragiques constitutionnelles (COMETH), la Fédération des infirmières françaises de l'hémophilie et des maladies hémorragiques (FIDEL'HEM), le Groupe de réflexion et d'information sur la kinésithérapie des maladies hémorragiques (GRIKH), l'INTS, la FMH et l'AFH. Ce réseau collaboratif pour le traitement de troubles rares de la coagulation, désormais baptisé Afath, souhaite créer ou développer dans les 7 ans qui viennent, dans chacun des pays participants, un centre de diagnostic et de traitement adapté et une association de patients. Chaque représentant de pays, avec l'aide de la FMH, s'engage à aider à définir les besoins, et le programme de l'Alliance formera les professionnels de santé des centres bénéficiaires. La création de ce centre permettra d'établir les bases d'un jumelage avec un centre de traitement en France, et de lancer un compagnonnage médical et paramédical portant notamment sur la formation des acteurs impliqués dans le diagnostic et le traitement des patients.

Les pays suivront le programme les uns après les autres, chacun sur une période de deux à trois ans. A travers l'Afath, l'AFH, l'INTS et la FMH espèrent rendre les pays concernés autonomes dans le traitement de l'hémophilie et permettre à leurs associations respectives de devenir membres de la FMH. Dans le même temps, divers outils de communication entre les pays de l'Alliance seront mis en place sur Internet. Des informations simples, comme l'importance du repos ou du froid pour soulager une hémarthrose, doivent être partagées. Ce qui compte pour tous ces pays, c'est de se sentir soutenus, accompagnés.

Le chemin est long et sept ans ne suffiront pas à combler l'écart qui nous sépare de ces pays. C'est pourquoi chaque action compte.

\* Epanchement de sang dans une articulation (genou, cheville, coude, etc.) et principale manifestation d'une hémophilie sévère.

# Mise en place d'un dispositif de surveillance neurologique renforcé



En février 2009, des examens postmortem de routine réalisés sur un hémophile britannique avaient pour la première fois mis en évidence une contamination par des prions. Les experts s'opposent sur l'interprétation du lien de causalité entre la présence d'une protéine prion anormale et l'exposition au risque alimentaire de la « vache folle » et/ou le traitement de cette personne hémophile par des médicaments dérivés du sang. Actuellement, le risque de transmission transfusionnelle de la variante de la maladie de Creutzfeldt-Jakob (vMCJ) est difficilement quantifié mais certains éléments d'évolution montrent qu'il est faible, même s'il convient de rester vigilant. C'est pourquoi l'AFH, les professionnels de santé et les autorités sanitaires ont décidé de mettre en place un dispositif de surveillance visant à détecter d'éventuels symptômes neurologiques si jamais le cas se présentait, et à prendre rapidement la mesure d'une telle alerte. Ce dispositif sera déclenché dans les prochaines semaines.

Marion Berthon-Elber  
Directrice générale

Un dispositif de surveillance neurologique renforcé des personnes atteintes de déficits héréditaires de la coagulation a été préconisé par un groupe de travail composé du ministère chargé de la santé, de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), de l'Institut de veille sanitaire (InVS), de médecins hématologues, neurologues et de l'Association française des hémophiles (AFH).

Ce dispositif permettra de détecter et de prendre en charge précocement d'éventuels symptômes neurologiques, d'alerter le cas échéant les autorités sanitaires afin qu'elles prennent les mesures appropriées, et d'améliorer l'exhaustivité des déclarations de pharmacovigilance des médicaments dérivés du sang.

Cette surveillance neurologique renforcée sera coordonnée par le Réseau national de surveillance de la maladie de Creutzfeldt-Jakob et des maladies apparentées (RNS-MCJ), en collaboration avec les médecins des centres de traitement de l'hémophilie (CTH) et l'InVS.

A l'occasion du suivi habituel des patients atteints de déficits de la coagulation, les médecins des CTH qui observeraient l'apparition de symptômes neurologiques inexpliqués par une affection déjà connue seront chargés d'orienter le patient vers un neurologue.

Le neurologue qui a vu le patient en consultation lui annonce le diagnostic lorsqu'il est confirmé. Celui-ci sera aussi communiqué aux médecins du RNS-MCJ, qui pourront ainsi évaluer une relation potentielle entre les symptômes observés et une éventuelle maladie à prions. Le médecin du CTH et le patient seront systématiquement informés des résultats de ces explorations et du bilan final.



# Les pathologies plaquettaires

## Des troubles rares de l'hémostase primaire



Les pathologies plaquettaires sont des maladies rares (héréditaires ou acquises) de l'hémostase, caractérisées par une altération de la fonction plaquettaire. Comme le clou plaquettaire ne se forme pas correctement, les personnes souffrant d'une telle anomalie saignent plus longtemps que la normale et sont susceptibles de présenter plus facilement des hématomes. Ces anomalies sont principalement dues soit à un problème lié à l'un des récepteurs à la surface des plaquettes, soit aux granules contenus à l'intérieur de celles-ci, ou encore à des dysfonctionnements d'autres composants intraplaquettaires.

### Qu'est-ce qu'une plaquette ?

Les plaquettes sont des petites cellules qui circulent dans le sang. Quand un vaisseau sanguin est endommagé, les plaquettes interviennent pour arrêter le saignement en formant un agglutinat qu'on appelle « clou plaquettaire » et qui permet de combler la brèche vasculaire. Ce processus comporte 3 étapes : l'adhésion plaquettaire, la sécrétion plaquettaire et l'agrégation plaquettaire.

Une fois le clou plaquettaire en place, d'autres protéines – appelées facteurs de la coagulation – agissent sur le site de la lésion. Ces facteurs de coagulation agissent ensemble à la surface des plaquettes pour solidifier le clou plaquettaire en formant un caillot de fibrine.

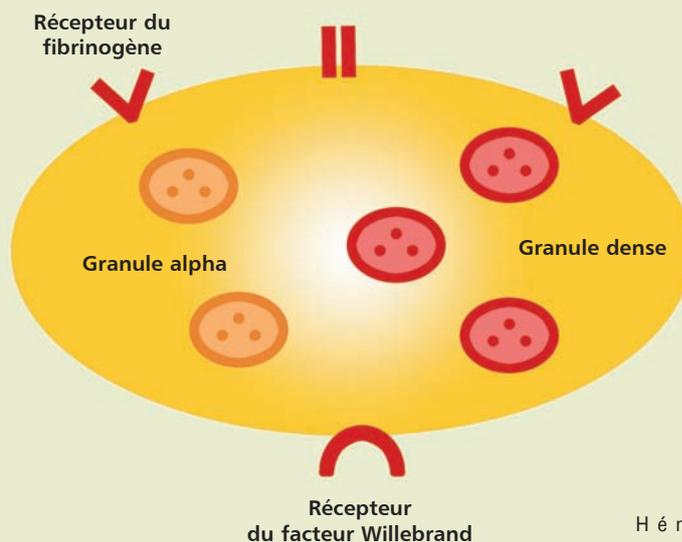
Les plaquettes jouent donc un rôle majeur dans le maintien de l'intégrité des parois des vaisseaux (voir figure 1).

Elles présentent à la surface de leur membrane de nombreuses protéines dont le rôle de récepteurs permet de s'activer et d'interagir entre elles ainsi qu'avec différentes substances présentes dans le sang.

Elles contiennent deux types de granules (denses et alpha) dont le contenu, bien que différent, est libéré lors de la sécrétion plaquettaire et agit alors comme un « signal chimique » pour attirer d'autres plaquettes et cellules au site de la lésion afin d'arrêter le saignement<sup>1</sup>.

1 • « Que sont les dysfonctions plaquettaires héréditaires ? », Fédération mondiale de l'hémophilie, 2012.

Figure 1 : Schéma d'une plaquette avec des récepteurs de surface et des granules.



**La maladie de Glanzmann et le syndrome de Bernard-Soulier, pathologies plaquettaires historiques**

Certaines personnes souffrent de défaut de production des plaquettes (thrombopénies) ou de la présence de plaquettes non fonctionnelles (thrombopathies) par anomalies des récepteurs, des granules ou d'autres composants plaquettaires. Elles sont considérées comme atteintes d'une pathologie plaquettaire. Ces personnes présentent des risques de saignements plus abondants. Les pathologies plaquettaires concernent environ 4 000 personnes en France et prennent des formes diverses (syndrome des plaquettes grises, anomalies de la mégacaryocytopoïèse, macrothrombocytopénies, maladie de la May-Hegglin...) : les plus connues sont la maladie de Glanzmann (environ 500 personnes en France) et le syndrome de Bernard-Soulier (environ 100 cas rapportés dans la littérature).

La maladie de Glanzmann est une pathologie plaquettaire rare due à une anomalie située sur la GP IIb-IIIa, le récepteur du fibrinogène (voir figure 1). C'est une maladie héréditaire autosomique récessive, ce qui signifie que les deux parents doivent être atteints ou porteurs de la pathologie pour que la maladie s'exprime chez leur enfant (voir figure 2). Elle est donc plus présente dans les régions ou les communautés présentant des unions fréquentes entre proches parents. La maladie de Glanzmann peut toucher aussi bien les filles que les garçons. Tous les patients ne présentent pas la même sévérité de signes cliniques : en effet, au sein d'une même famille, les personnes peuvent avoir des signes cliniques mineurs, modérés ou parfois très sévères. Le premier signe clinique est la présence d'un purpura ou de pétéchies – petites taches rouges – au niveau de la peau. De manière spontanée ou suite à un choc, certains patients peuvent présenter des ecchymoses (bleus) mais aussi des hématomes dont l'ampleur peut être disproportionnée par rapport à l'intensité du choc. Un autre signe est l'apparition d'hémorragies fréquentes qui peuvent être plus ou moins abondantes et survenir au niveau des muqueuses de la bouche, du nez, de l'estomac ou de l'intestin. Le risque de saignement abondant associé aux menstruations et à l'accouchement est élevé. Des hémorragies cérébrales peuvent également survenir à l'occasion d'un traumatisme crânien, même modéré<sup>2</sup>.

Le syndrome de Bernard-Soulier est une pathologie plaquettaire due à une anomalie située sur la GP Ib-IX-V, le récepteur du facteur Willebrand (voir figure 1). Elle se caractérise par un taux de plaquettes bas avec des plaquettes anormalement grandes et peu fonctionnelles. Cette maladie correspond à une anomalie génétique qui peut toucher aussi bien les filles que les garçons. Comme la maladie de Glanzmann, pour qu'elle s'exprime, elle est le plus souvent transmise par les deux parents. Dans de rares cas, la transmission se fait par un seul parent qui lui aussi est atteint. Les signes cliniques de la maladie de Bernard-Soulier sont très proches de ceux de la maladie de Glanzmann<sup>3</sup>.

De nombreuses autres pathologies plaquettaires sont connues. Leur transmission est variable. Certaines ne touchent que les garçons, d'autres sont transmises par un seul des parents ou les deux parents. Chacune de ces pathologies a des caractéristiques propres et des critères diagnostiques spécifiques.

Dans tout les cas un diagnostic précis permet de limiter l'errance diagnostique et thérapeutique qui accompagne souvent ces pathologies.

**Quelles thérapeutiques ?**

La prise en charge des patients atteints de la maladie de Glanzmann lors d'épisodes hémorragiques ou lors d'une intervention chirurgicale repose essentiellement sur l'utilisation d'agents antifibrinolytiques, de desmopressine, de colle de fibrine, et sur la transfusion de plaquettes sanguines, voire de concentrés de globules rouges. Une thérapie hormonale par contraceptif ou un dispositif intra-utérin à libération de lévonorgestrel peuvent être préconisés pour maîtriser les saignements menstruels trop abondants. Des suppléments de fer sont prescrits au besoin pour soigner les anémies causées par des saignements excessifs ou prolongés. Un grand nombre de patients présente un risque d'immunisation contre les plaquettes qui leur sont transfusées pour les soigner. Cette immunisation peut aboutir à une efficacité insuffisante des transfusions plaquettaires ultérieures. Chez les patients ayant développé des inhibiteurs et pour lesquels l'efficacité transfusionnelle plaquettaire est devenue insuffisante, l'administration de facteur VII activé recombinant permet d'apporter une réponse thérapeutique satisfaisante.

Figure 2 : Schéma de la transmission génétique de la maladie de Glanzmann selon le statut génétique des parents.

Parent A	Parent B	Enfants
sain ■■	malade ▲▲	100 % porteurs ■▲
sain ■■	porteur ■▲	50 % sains ■■ et 50 % porteurs ■▲
porteur ■▲	malade ▲▲	50 % porteurs ■▲ et 50 % malades ▲▲
porteur ■▲	porteur ■▲	25 % sains ■■, 50 % porteurs ■▲ et 25% malades ▲▲

■ ■ Pas d'anomalie du gène

■ Une copie du gène de la maladie de Glanzmann est normale

▲ Une copie du gène de la maladie de Glanzmann est anormale

▲ ▲ Les deux copies du gène de la maladie de Glanzmann sont anormaux

## Vers une intégration des pathologies plaquettaires au sein de l'AFH

Dans un contexte de structuration de l'organisation des soins visant à réunir les trois filières de référence hémophilie (centre de référence de l'hémophilie et autres maladies hémorragiques constitutionnelles, CRMH), maladie de Willebrand (centre de référence de la maladie de Willebrand, CRMW) et pathologies plaquettaires (centre de référence des pathologies plaquettaires, CRPP), et suite à la dissolution de l'Association française des pathologies plaquettaires (AFPP), l'AFH proposera à ses adhérents, lors de l'assemblée générale du 29 juin prochain, l'intégration des pathologies plaquettaires au sein de l'Association.

Le conseil d'administration de l'AFH, par résolution votée le 14 décembre 2013, recommande cette intégration des pathologies plaquettaires au sein de l'AFH et a choisi, pour la faciliter, de créer une commission « Pathologies plaquettaires » (**lire l'encart ci-dessous**). Les personnes atteintes de pathologies plaquettaires et leurs proches bénéficieront ainsi, au même titre que celles concernées par l'hémophilie, la maladie de Willebrand et les déficits rares en facteurs de la coagulation, des actions d'aide, de soutien, d'information et de défense portées par l'AFH.

Marion Berthon-Elber  
Directrice générale

## L'AFH crée une commission « Pathologies plaquettaires »

L'AFH vient de créer une 7<sup>e</sup> commission dédiée aux pathologies plaquettaires, avec pour objectifs :

- ▶ de fédérer les patients atteints de ces pathologies ;
- ▶ d'informer le public et de lui faire connaître les pathologies plaquettaires ;
- ▶ d'organiser des rencontres et des discussions pour permettre aux malades de témoigner sur leur pathologie et leur vie au quotidien ;
- ▶ de réaliser l'interface entre les patients, les familles et les professionnels de santé.

La première action de la commission « Pathologies plaquettaires » sera de créer une liste de discussion qui offrira aux patients et aux familles un espace d'échange sécurisé et confidentiel, pour leur permettre de partager des points de vue, des questions, des expériences, des situations du quotidien.

- ▶ Pour tout renseignement et pour vous inscrire, nous vous invitons à prendre contact avec **Manuela Leurent**, responsable de la commission « Pathologies plaquettaires » :

**E-mail : [manuleurent@hotmail.com](mailto:manuleurent@hotmail.com)**

## Le CRPP, un centre de référence pour les pathologies plaquettaires

Le Centre de référence des pathologies plaquettaires (CRPP) a été labellisé en 2005 par le ministère de la Santé dans le cadre du Plan national maladies rares qui fixe comme priorité d'« assurer l'équité pour l'accès au diagnostic, au traitement et à la prise en charge » des personnes souffrant d'une maladie rare. Il a pour but la mise en place d'une filière de soins visant à améliorer la prise en charge des patients atteints de thrombopénies constitutionnelles ou de thrombopathies, de développer des outils diagnostiques performants, et de favoriser la recherche dans le domaine de ces maladies.

Le CRPP rassemble des professionnels de santé spécialisés dans les pathologies plaquettaires. Il est constitué par l'association de 7 CHU\* en France (CHU de Bordeaux, de Lyon, de Toulouse, et les CHU de l'Assistance publique hôpitaux de Paris : Bicêtre, Armand-Trousseau et Robert-Debré). Le CHU de Marseille assure la coordination nationale. Chacun de ces centres associe laboratoire d'hémostase, services d'hospitalisation et groupes de recherche.

En 2007, le ministère de la Santé a décidé d'étendre le maillage national des Centres de référence maladies rares par la reconnaissance de Centres de compétences. Dans ce cadre, 4 autres centres ont été retenus : région Grand Nord-Est (CHU de Nancy), région Grand Ouest (CHU de Tours), région Languedoc-Roussillon/Outre-Mer (CHU de Montpellier) et région PACA-Corse (CHU de Marseille).

En 2013, le ministère des Affaires sociales et de la Santé a décidé, en accord avec l'ensemble des sites, de confier la coordination du CRPP au CHU de Marseille.

### ▶ Pour contacter le CRPP :

CRPP-CEHT - Pr Marie-Christine Alessi

CHU Timone

27, bd Jean-Moulin - 13385 Marseille Cedex 5

\* Centres hospitaliers universitaires.

# Les médicaments à durée de vie prolongée : où en est la recherche ?

## Conférence de Dublin, novembre 2013

Du 22 au 24 novembre 2013 s'est tenue une conférence sur les médicaments à demi-vie allongée en hémophilie, organisée par l'Association irlandaise des hémophiles et qui a réuni une cinquantaine de personnes venues de toute l'Europe. La première journée, très scientifique, fut consacrée à la description des technologies permettant de produire des protéines à durée de vie prolongée. La deuxième journée, plus participative, fut consacrée à des témoignages individuels suivis d'un débat général sur les essais cliniques de ces nouvelles molécules.

*1 • Les 3 phases (I, II et III) de recherche clinique permettent d'évaluer la sécurité, la tolérance et l'efficacité d'un candidat médicament. La phase I s'effectue sur des volontaires sains. La phase II s'effectue sur un petit nombre de patients à court et moyen terme et permet de déterminer la posologie. Enfin, la phase III vise un grand nombre de patients pour tester l'efficacité du médicament à long terme en comparant avec un traitement de référence.*

### Principes de l'obtention de molécules à action prolongée

Chaque protéine a une durée de vie (ou demi-vie), c'est-à-dire un temps pendant lequel elle est présente dans l'organisme qui lui est propre. Certaines protéines ont une durée de vie de quelques heures comme le facteur VIII (FVIII), le facteur IX (FIX) et le facteur Willebrand (FWb). D'autres ont une durée de vie de quelques jours, comme l'albumine ou les immunoglobulines. Pour allonger la présence dans l'organisme des protéines éliminées rapidement, et donc améliorer leur temps d'efficacité dans le cas de protéines thérapeutiques, l'idée est de les coupler ou de les fusionner avec des molécules naturelles ou chimiques ayant une durée de vie plus longue.

Lors de la conférence irlandaise, J. Oldenburg (Allemagne) a dressé un état des lieux des différentes technologies existantes pour prolonger l'activité des fractions coagulantes. E. Berntorp, P. Giangrande, C. Hermans ont ensuite détaillé chacune des trois méthodologies les plus avancées pour allonger la durée de vie des facteurs de coagulation : ajout de PEG (polyéthylène glycol), d'albumine ou de fragments-Fc des immunoglobulines.

Schématiquement, il y a trois types de molécules ajoutées au FVIII, au FIX ou au FVIIa pour en prolonger la durée de vie :

- ▶ le PEG, molécule chimique, qui est couplée à la protéine d'intérêt ;
- ▶ l'albumine, protéine abondante dans le plasma, qui est fusionnée à la protéine d'intérêt ;
- ▶ la fraction Fc des immunoglobulines, qui est fusionnée à la protéine d'intérêt.

Ces trois technologies ont déjà été appliquées afin de prolonger l'action d'autres protéines thérapeutiques

pour le traitement d'autres pathologies que les maladies hémorragiques.

Ces molécules sont en essais cliniques de phase II/III ou en phase III<sup>1</sup>. Globalement, les 3 méthodes donnent les mêmes résultats (voir la figure 1) :

- ▶ Satisfaisants pour le FIX, avec une prolongation de la durée de vie de 3 à 6 fois (la demi-vie passe de 18 h à environ 100 h).
- ▶ Satisfaisants pour le FVIIa, avec une prolongation de la durée de vie de 3 à 5 fois, en sachant que celle-ci est très courte (la demi-vie passe de 2,5 h à 6-10 h).
- ▶ Décevants pour le FVIII, avec une prolongation de la durée de vie de 1,5 à 1,7 fois (la demi-vie passe de 12 h à 18 h). Une option prometteuse serait d'agir également sur la durée de vie du facteur Willebrand, qui est la protéine porteuse du FVIII dans le plasma et qui a aussi une demi-vie de 18 h. Les essais en sont à leurs débuts pour du facteur Willebrand fusionné à de l'albumine.

Aucune de ces nouvelles molécules ne semble présenter d'effets indésirables : notamment elles n'entraînent pas d'apparition plus importante d'anticorps (inhibiteurs) qu'avec les molécules d'origine. Il faut cependant modérer ces observations par le fait qu'il y a encore très peu de recul et que seul un petit nombre de patients ont été traités avec ces nouvelles molécules.

Par contre, la toxicité de ces trois molécules est différente :

- ▶ Le PEG, qui a déjà été utilisé associé à d'autres molécules, s'est révélé assez toxique, notamment au niveau du rein et du système immunitaire. Il semble que cette substance « chimique » ne soit pas totalement éliminée de l'organisme et que le PEG restant s'accumule dans l'organisme. On connaît mal l'effet à long terme de cette accumulation.

► Les deux autres molécules – protéines fusionnées à de l’albumine ou aux fragments Fc – sont plus « naturelles » puisqu’elles utilisent des protéines déjà existantes dans la nature. Leur toxicité devrait donc être moindre même si leur concentration dans l’organisme sera plus élevée (en particulier pour l’albumine) que dans les conditions physiologiques, lorsqu’elles sont injectées associées aux protéines de la coagulation. L’immunologiste présent à la conférence de Dublin a cependant émis quelques réserves et a souligné que

l’albumine, qualifiée d’élément « naturel » par certains conférienciers, n’était plus si naturelle une fois associée au FVIII.

En conclusion, s’ils ont tous souligné les avancées importantes de la recherche en matière d’allongement de la durée de vie des médicaments antihémophiliques, la grande majorité des médecins présents se sont montrés en faveur de l’utilisation des protéines de fusion (et plutôt avec les fragments Fc) de préférence au PEG.

Figure 1 : Essais cliniques pour les médicaments à durée de vie (demi-vie) allongée<sup>2</sup>.

Protéine	Protéine recombinante	Modification	Demi-vie (T <sub>1/2</sub> )
FVIII	BDD - rFVIII	PEGylation	1,5 fois plus élevée
	BDD - rFVIII		1,6 fois plus élevée
	FL - rFVIII		1,5 fois plus élevée
	BDD - rFVIII	Fusion-FC	1,5 à 1,7 fois plus élevée
	rFIX	PEGylation	6 fois plus élevée
		Fusion-FC	2 à 3 fois plus élevée
		Fusion albumine	5 fois plus élevée
	rFVIIa	PEGylation	5 fois plus élevée
		Variants génétiques	2 à 3 fois plus élevée
		Fusion-FC	N/A
		Fusion albumine	3 à 4 fois plus élevée

## Témoignages sur les essais cliniques des nouvelles molécules

**Témoignage du médecin (Dr Beatrice Nolan, Irlande) :**  
Pour commencer, Dr Beatrice Nolan a expliqué qu’il lui était difficile de faire abstraction des liens établis entre elle et son patient, mais aussi qu’elle devait veiller à ne pas l’influencer en donnant son avis personnel sur l’essai qu’elle lui proposait. Une autre des difficultés rencontrées est le faible nombre de malades qui acceptent d’entrer dans les essais cliniques. Dr Beatrice Nolan a également présenté le surcroît de travail que l’inclusion de ces patients représente pour elle, notamment pour les procédures administratives, le plus souvent d’une grande complexité à établir.

### Témoignage du patient (David Page, Irlande, hémophile B sévère) :

David Page a présenté son expérience dans le cadre d’un essai pour un facteur IX fusionné avec des immunoglobulines (FIX-Fc). En préambule, il a bien indiqué qu’il allait présenter son cas personnel et que chaque personne est unique face aux traitements. Quand il a commencé l’essai, il sortait d’une série d’épisodes hémorragiques et souffrait de problèmes au coude et au genou. Les douleurs ont rapidement disparu et, avec une injection par semaine, il n’a pas eu de saignements importants pendant 8 mois, malgré une activité sportive intensive. Il a ensuite fait une hémarthrose<sup>3</sup> très importante alors qu’il avait un taux de FIX à environ 25 %. Cet épisode n’a pas été expliqué... Il considère que pour son cas personnel, viser un main-

tien du taux de FIX à 1 % est insuffisant. Il propose donc, plutôt qu’une réduction du nombre d’injections, de faire le même nombre d’injections mais avec un nombre plus faible d’unités injectées, ce qui permettrait *in fine* de maintenir en permanence dans la circulation un taux de FIX plus haut (voir la figure 2 : courbe violette).

### Témoignage du père d’un enfant atteint d’hémophilie A :

Son fils âgé de 8 ans est entré dans l’essai en recevant du facteur VIII fusionné avec des immunoglobulines (FVIII-Fc). Il est alors passé d’une injection tous les 2 jours à une injection tous les 3 jours. Cette famille considère que même si le gain est faible, le nouveau médicament lui a apporté une meilleure qualité de vie. Elle pouvait ainsi partir tout un week-end sans avoir à faire de perfusion.

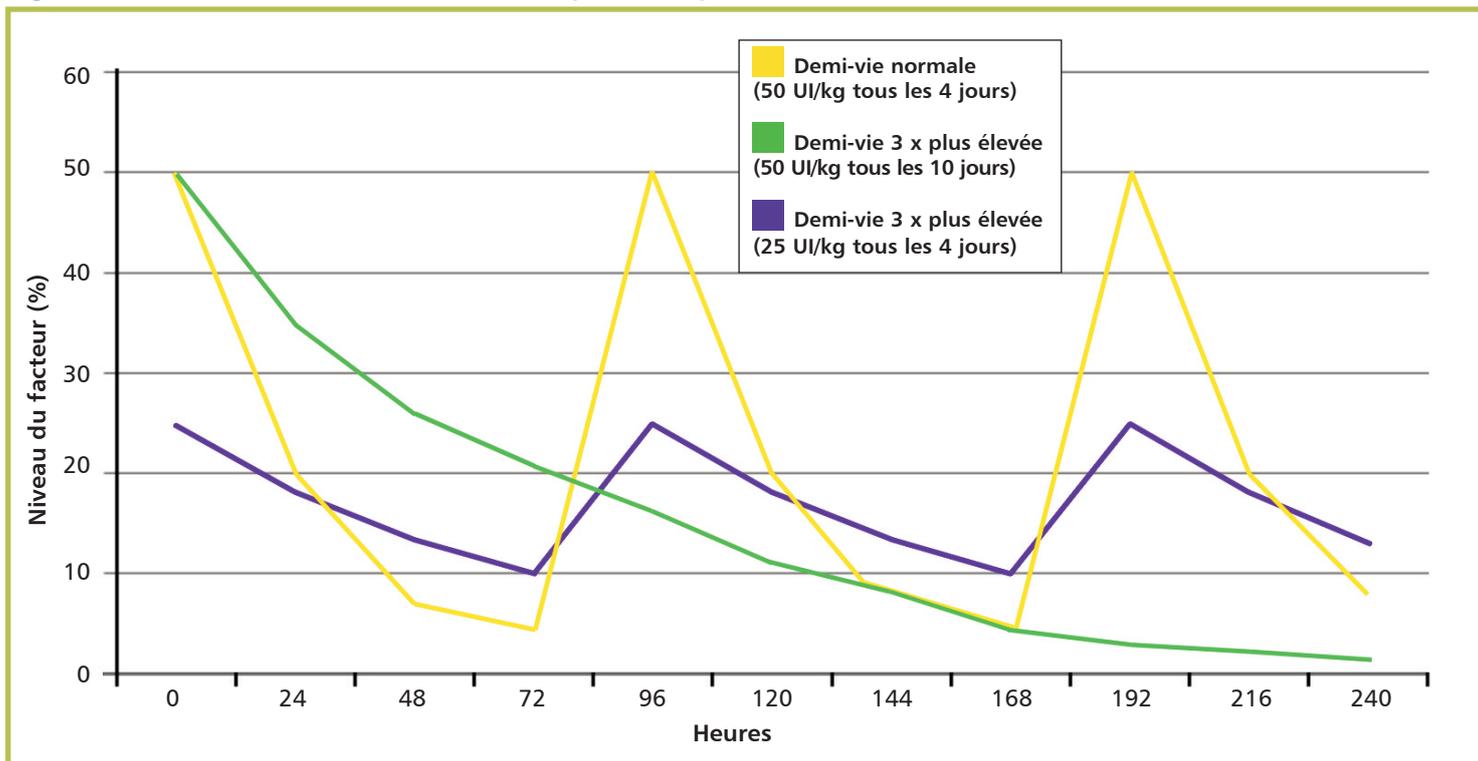
### Témoignage du « payeur » (Ri De Ridder, Sécurité sociale belge) :

Ri De Ridder a présenté le système de santé belge et le coût du traitement des maladies hémorragiques en Belgique. Il s’est ensuite interrogé sur la question de savoir si les gouvernements européens seraient prêts à payer plus cher pour améliorer la qualité de vie d’un groupe de malades. Tout comme la France, la Belgique n’a pas de système d’appel d’offres national et les tarifs sont supérieurs à la moyenne européenne. Enfin, le budget alloué à l’hémophilie a presque triplé en une dizaine d’années. Ri De Ridder n’était pas en mesure d’expliquer cette hausse importante.

<sup>2</sup> • Tableau présenté par le Dr Flore Peyvandi.

<sup>3</sup> • Epanchement de sang dans une articulation (genou, cheville, coude, etc.) et principale manifestation d’une hémophilie sévère.

Figure 2 : Durée de vie des médicaments et fréquence d'injection.



### ■ Economie de santé et médicaments orphelins

L'accord de la FDA (*Food and drug administration*, agence américaine du médicament) pour l'autorisation de mise sur le marché (AMM) de certains médicaments à durée de vie prolongée est prévu en mai 2014. En Europe, l'accord de l'EMA (*European medicines agency*, agence européenne du médicament) sera plus tardif car l'Union européenne exige des essais pédiatriques, et les médecins se montrent souvent réticents à traiter des enfants avec des molécules que l'on connaît encore assez mal. On ignore combien de temps il faudra pour que ces essais soient réalisés, mais on considère que le délai d'obtention de l'AMM sera allongé de deux ans. Le Consortium européen de l'hémophilie (EHC) souhaiterait une harmonisation entre les deux agences, ce qui sera difficile à obtenir...

Se pose également la question du statut de « médicament orphelin ». Cette appellation suppose que le médicament soit unique et permet au laboratoire qui le produit d'obtenir une exclusivité du marché pendant 10 ans. Tous les laboratoires qui produisent ces fractions à action prolongée ont demandé ce statut de médicament orphelin pour leur molécule. L'EHC, en la personne de son président Brian O'Mahony, trouve cette situation extrêmement préoccupante. En effet, les molécules proposées ne sont pas équivalentes, comme c'est expliqué plus haut. Par ailleurs, privilégier une molécule qui aurait l'exclusivité freinerait considérablement la recherche pour toutes les autres. Or, comme nous l'avons vu, elles ont

toutes besoin d'être améliorées. Enfin, s'il y a un monopole, cela entraînera un coût bien plus élevé pour la molécule choisie. L'EHC se bat donc très fermement pour qu'aucune de ces molécules n'obtienne le statut de médicament orphelin et, si les laboratoires l'obtiennent, pour qu'ils renoncent à l'exclusivité.

Sur le plan du coût de ces nouvelles molécules, personne ne sait quel sera leur prix (des chiffres ont été avancés mais ce sont de pures spéculations à l'heure actuelle, même s'il est clair que les prix de ces nouveaux produits seront plus élevés qu'actuellement). L'assemblée s'est demandé si les gouvernements seront disposés à payer pour ces nouveaux facteurs de coagulation, notamment dans le cas du FVIII où le gain est faible et où les autorités pourront considérer qu'il s'agit d'un médicament « de confort ». Le débat reste ouvert...

En conclusion, cette conférence, très intéressante, a fait le tour des perspectives ouvertes par ces nouvelles molécules à action prolongée à la fois sur les plans scientifique, médical et économique, mais aussi en présentant le point de vue des personnes directement concernées. Cette conférence sera pérennisée par l'EHC, qui organisera une prochaine édition en novembre 2014.

**Geneviève Piétu**

*Animatrice du groupe de travail « Recherche »*

**Olivia Romero-Lux**

*Chargée de mission « EHC »  
Membre du bureau de l'EHC*

# Portrait d'un patient en essai clinique de thérapie génique



En 2011, une équipe anglo-américaine rendait publiques ses recherches sur la thérapie génique<sup>1</sup> : 6 patients atteints d'hémophilie B sévère ayant reçu une injection véhiculant un gène normal de facteur IX ont pu se passer pendant plusieurs mois d'administration de produit antihémophilique. Une très grande avancée dans le domaine de la thérapie génique, qui a suscité de grands espoirs pour la communauté hémophile. Adam Sumera, membre de l'Association polonaise des hémophiles, a rencontré Sebastian Misztal, patient polonais hémophilie B installé en Grande-Bretagne, pour l'interroger sur sa participation à ces essais cliniques de thérapie génique<sup>2</sup>.

**Adam Sumera** *Je suis content que tu aies trouvé le temps pour une interview. Dans la presse généraliste à l'étranger on a beaucoup parlé de toi et des essais de thérapie génique – il suffit de regarder sur Internet pour s'en rendre compte –, mais rappelle-nous en quelques mots qui tu es.*

**Sebastian Misztal** *J'ai 33 ans et j'habite au nord de Londres depuis quatre ans. Je dirige une entreprise dans le domaine de l'audiovisuel et dans les systèmes de sécurité.*

**A. S.** *Je sais que tu souffres d'une hémophilie B sévère. Quel était ton état de santé avant d'entrer dans ces essais cliniques ? Comment sont les soins des hémophiles en Grande-Bretagne ?*

**S. M.** *Mon état de santé, c'est une question un peu compliquée. En Pologne, enfant, je n'ai suivi aucune prophylaxie<sup>3</sup>, ce qui a provoqué des dégâts irréversibles dans mes articulations, dans mes chevilles notamment. A cause de cela, je suis contraint de prendre aujourd'hui des antidouleurs pour vivre au quotidien. A mon arrivée en Grande-Bretagne, mon état de santé n'était pas satisfaisant. Le premier médecin que j'ai rencontré m'a dirigé vers le Royal*

*free hospital* dans le quartier de Hampstead (Londres), au centre de traitement de l'hémophilie. Ainsi a commencé mon aventure avec la prophylaxie. Au début, j'allais de mon travail à l'hôpital deux fois par semaine pour recevoir mes injections ; puis j'ai reçu une formation à l'autotraitement. Le traitement est livré à la maison avec les seringues et tout l'équipement nécessaire. Les soins des hémophiles en Grande-Bretagne m'ont beaucoup surpris.

**A. S.** *Comment as-tu participé à l'étude clinique de thérapie génique ? Quelles étaient les exigences des organisateurs ?*

**S. M.** *En tant que patient de l'hôpital de Hampstead, j'avais le plaisir de connaître les « pères » de la thérapie génique : un directeur retraité de cet hôpital, le Pr Edward Tuddenham<sup>4</sup>, et le Dr Amit Nathwani. Ils m'ont parlé de leurs recherches et de la nouvelle étape des études cliniques. Ils m'ont dit qu'ils cherchaient des volontaires, ou plutôt un premier volontaire qui croirait en leurs études et « prendrait le risque ». Les exigences étaient assez compliquées : être atteint bien sûr d'hémophilie B, bénéficiaire d'un bon état de santé général (avant tout un bon foie), ne pas produire d'anticorps contre le vecteur injecté pour la thérapie génique, et bien d'autres encore.*

<sup>1</sup> Manipulation génétique visant à introduire chez le patient le gène manquant pour corriger le défaut de coagulation. On injecte au patient un ensemble (ou une construction) constitué du gène normal inséré dans un vecteur qui va permettre son transport.

<sup>2</sup> Traduction de Bernadetta Pieczyńska, membre du conseil d'administration de l'Association polonaise des hémophiles.

<sup>3</sup> Traitement qui a pour objectif de prévenir les hémarthroses, la survenue des articulations cibles plus sujettes aux saignements et le développement d'une arthropathie précoce, par injection préventive du facteur antihémophilique manquant. Lire la revue n° 203 pages 16 à 19.

<sup>4</sup> Lire la revue n° 198 page 15.



**A. S.** *Tu as mis beaucoup de temps pour prendre ta décision ?*

**S. M.** Je n'ai pas beaucoup réfléchi à ma participation au programme, malgré les informations sur le risque possible, malgré le risque même de perdre la vie. Mes connaissances dans le domaine de la biologie et de la génétique, bien que limitées, m'ont permis d'arriver à la conclusion que le risque était petit alors que les possibilités étaient énormes – même si je savais que les dégradations articulaires de mes chevilles ne pourraient pas reculer. Dès la première injection, mon taux de facteur IX a augmenté !

**A. S.** *Il s'agissait uniquement d'améliorer ton état de santé ?*

**S. M.** En participant à la thérapie, j'ai plutôt pensé aux autres malades et aux enfants qui, dans le monde entier, comme moi autrefois en Pologne, passent leur enfance et leur adolescence sans prophylaxie : ainsi, tout ce que j'avais vécu pourrait leur être épargné grâce à une seule piqûre... Cela valait-il la peine de prendre des risques ? J'ai considéré que cela en valait largement la peine. Et j'avais raison.

**A. S.** *Combien de temps a duré le programme et comment s'est-il déroulé ?*

**S. M.** Le programme a commencé par les analyses préliminaires – toutes les analyses sanguines possibles ont été réalisées, et par des examens du foie. Cette étape n'était pas pesante. L'intensité des analyses juste avant le protocole a été un peu plus fatigante, parce que je devais aller à l'hôpital assez souvent et que cela perturbait ma vie quotidienne. Le temps de l'injection du vecteur<sup>5</sup> durait deux heures, et j'ai pourtant dû rester en observation à l'hôpital pendant toute une journée.

Après l'injection, je devais me présenter à l'hôpital tous les jours pendant deux semaines, puis de plus en plus rarement (deux fois par semaine, puis une fois par mois, etc.). Cette étape n'était pas très confortable, toutefois je trouve que ça en valait la peine.

**A. S.** *Combien de personnes participaient à ces essais cliniques ?*

**S. M.** Je ne sais pas exactement combien de personnes ont participé aux tests. Je sais que nous n'étions pas nombreux, et je n'ai eu le plaisir de rencontrer qu'une seule personne qui, comme moi, était intégrée à l'étude.

**A. S.** *Quels sont les effets immédiats et à long terme ? Es-tu satisfait des résultats ?*

**S. M.** Les effets sont prometteurs. Mon taux de facteur IX dans le sang est passé de < 1 % à 2 %, ce qui signifie en pratique que la prophylaxie n'est plus indispensable et que le facteur IX peut m'être administré uniquement à la demande. Ce traitement m'a donné la possibilité de devenir plus actif que je ne l'étais ces dernières années : j'ai perdu du poids et j'ai retrouvé ma forme comme au temps du lycée. Mon moral est également remonté, et je vis presque normalement. Le fait de ne plus avoir besoin d'injections systématiques est en soi agréable – je n'ai plus à me faire des injections intraveineuses deux fois par semaine. Jusqu'à présent, le protocole n'a pas provoqué d'effets secondaires. Quant au moral des autres participants à cet essai, je n'en sais que ce que j'ai lu dans des interviews : ils disent qu'ils ont repris le sport, etc. Ainsi, je constate que leurs résultats sont semblables aux miens ou même encore plus prometteurs.

**A. S.** *Que voudrais-tu transmettre aux lecteurs de la revue ?*

**S. M.** Aux lecteurs de la revue, je voudrais tout simplement conseiller de vivre normalement (en fonction de leurs possibilités). En effet nous, hémophiles, nous sommes capables de réaliser ce que nous souhaitons, au même titre que les autres personnes. La maladie, c'est une difficulté mais ce n'est pas une barrière incontournable, alors relevons la tête ! De nouvelles thérapies arrivent et sont porteuses de grandes possibilités, grâce aux médecins et aux patients capables de s'y engager ; elles seront bientôt plus accessibles et simplifieront notre vie.

5 • Lire la note 1.

# Réussir l'intégration scolaire des enfants atteints d'un trouble rare de la coagulation

## Un maître mot : informer, informer et encore informer...

Tout le monde a des croyances, et certaines concernant l'hémophilie ont la vie dure. On peut le comprendre car l'hémophilie et la maladie de Willebrand sont des maladies rares auxquelles le personnel de l'école n'a souvent jamais été confronté dans la vie professionnelle ou personnelle jusqu'au jour où... La probabilité d'une expérience passée est quasi nulle, et le seul savoir à leur disposition est l'idée qu'ils s'en font, souvent erronée. C'est pourquoi l'information est essentielle pour tous ces professionnels auxquels sont confiés les enfants, de la maternelle au lycée.

### ■ Informer : une des 3 missions de l'AFH

Essentiellement composée de bénévoles, l'AFH exerce depuis 1955 une présence active sur tout le territoire à travers ses 23 comités régionaux et ses 7 commissions<sup>1</sup>. Proches des patients et de leur famille, les comités et les commissions sont des lieux de rencontre et d'échanges qui invitent à rompre avec l'isolement. Sources d'informations pratiques, ils sont de véritables relais locaux entre les familles, les institutions et les structures de soins. Informer sur les troubles rares de l'hémostase est une de nos priorités (les 2 autres étant d'aider et de défendre les personnes concernées par ces pathologies). Cette mission d'information est d'autant plus importante que les troubles rares de l'hémostase sont mal connus et font l'objet de nombreux préjugés.

### ■ Informer par une rencontre plurielle : l'exemple de Saint-Brieuc



Une journée d'information scolaire a été organisée le 15 janvier dernier à l'hôpital Yves-Le Foll de Saint-Brieuc par l'AFH et son comité Bretagne, en collaboration avec le centre de traitement de l'hémophilie (CTH) de Rennes, et avec le soutien du CTH de Brest<sup>2</sup>. A Saint-Brieuc, il s'agit d'une première dans l'organisation d'un programme de sensibilisation sur les pathologies de l'hémostase proposé aux médecins et infirmiers scolaires et hospitaliers, aux conseillers principaux d'éducation et aux enseignants, de la maternelle

au lycée, ayant en charge un élève concerné par un trouble rare de la coagulation. Des stagiaires et des parents d'élèves hémophiles se sont également déplacés pour s'informer. Au total, 26 participants ont répondu présent et ont fait de cette journée d'information un lieu d'interaction et de débat.

- Les 5 ateliers proposés ont été interactifs, abordant les sujets suivants :
- ▶ la pathologie<sup>3</sup>,
  - ▶ le rôle et les missions des CTH<sup>4</sup>,
  - ▶ la prise en charge de l'enfant à l'école<sup>5</sup>,
  - ▶ le rôle et les missions de l'AFH<sup>6</sup>,
  - ▶ les aspects psychosociaux du « vivre avec » un trouble rare de la coagulation<sup>7</sup>.

Par leur expérience, les infirmières du CTH ont pu, par exemple, apporter un éclairage sur le comportement à tenir au quotidien, l'importance d'écouter l'enfant, et sur les bonnes pratiques et gestes utiles à appliquer. Une des questions posées lors de cet atelier reposait sur le bien-fondé du sport pour ces enfants. Peuvent-ils en faire et comment ? Un enfant atteint d'hémophilie qui court n'a pas l'obligation de porter de protection particulière comme un casque et des genouillères. Un enfant surprotégé est un enfant qui va perdre sa confiance en lui, qui va se marginaliser. Cette surprotection est dangereuse à terme car plus tard l'enfant devenu adolescent prendra sa revanche en pratiquant des sports collectifs dangereux. Psychologiquement, il est important qu'il maintienne une vie normale comme les autres enfants. C'était l'une des informations importantes échangées lors de cette journée.

### ■ Informer par des publications : la brochure destinée aux professionnels scolaires

L'AFH a édité en décembre 2013 une nouvelle brochure d'information pour l'équipe pédagogique<sup>8</sup>. Remise par les parents à l'équipe, celle-ci y trouve nombre de réponses à ses questions et plein de conseils utiles. Ils y apprennent à décrier quelques idées reçues sur l'hémophilie, par exemple : « Non, un enfant hémophile ne risque pas de se vider de son sang s'il se coupe accidentellement ». En cas de plaie, l'enfant atteint d'hémophilie ne saigne pas plus abondamment qu'un autre enfant mais il saigne plus longtemps car le caillot qui normalement colmate la plaie a plus de mal à se former correctement. Les petites coupures, saignements de nez, bosses sur le front... sont généralement maîtrisés par compression locale (pas plus forte mais maintenue plus longtemps) et application d'un produit coagulant.

▶ Cette brochure est disponible sur simple demande au siège de l'AFH (Tél. : 01 45 67 77 67 – E-mail : [info@afh.asso.fr](mailto:info@afh.asso.fr)) et est également accessible sur le site Internet de l'Association<sup>9</sup>. L'objectif est d'apporter des réponses aux questions les plus fréquentes que se posent les équipes pédagogiques, et de vaincre quelques idées reçues...

**Stacy-Ann Lee-Leloup**  
Chargée de mission « Adhérents, bénévoles et comités »

**Sophie Ayçaguer**  
Chargée de mission « Education thérapeutique du patient »

1 • Lire la revue n° 200 (2).  
2 • Avec le soutien de Novo Nordisk.  
3 • Animé par les Drs Benoit Guillet et Sophie Bayart, du CTH de Rennes.  
4 • Animé par le Dr Benoit Guillet.  
5 • Animé par Mmes Bouvet et Rouault, infirmières du CTH de Rennes.  
6 • Animé par Marion Berthon-Elber, directrice générale de l'AFH.



7 • Animé par le Dr Benoit Guillet et par Brahim Kayous, membre de l'AFH et Parent ressource.  
8 • Avec le soutien de Novo Nordisk.  
9 • [www.afh.asso.fr](http://www.afh.asso.fr)

# Partir en voyage ? Rien de plus simple

Vous rêvez déjà des vacances et vous prévoyez de partir en France ou à l'étranger ? Rien de plus simple : il suffit simplement de bien vous préparer en examinant les précautions à prendre, et le tour est joué ! Voici en un coup d'œil la liste des indispensables à prévoir, ainsi que les nouvelles mesures de sécurité dont il faut tenir compte.



## Liste des indispensables pour le jour du départ

- Papiers d'identité valides (carte d'identité ou passeport, selon la destination).
- Visa (selon la destination).
- Carte de maladie rare (hémophilie, maladie de Willebrand ou pathologie plaquettaire), carnet de santé et carte de groupe sanguin.
- Certificat médical de votre médecin en anglais précisant votre maladie, votre traitement et les résultats de votre dernier bilan médical.
- Courrier de votre médecin en anglais pour les contrôles de police et de douanes expliquant pourquoi vous voyagez avec du matériel médical et des médicaments, la nécessité de les conserver en cabine avec vous, ainsi que les graves conséquences qui pourraient découler du fait que vous soyez privé de l'accès immédiat à ces produits<sup>1</sup>.
- Vaccins (selon la destination).
- Assurance annulation et rapatriement (en cas de pépin de dernière minute). Pensez à bien vous faire préciser les termes de votre contrat<sup>2</sup>.
- Stock de médicaments (produits antihémophiliques, antalgiques, compresses, poches glacées, pansements, etc.) suffisant pour toute la durée du séjour, que vous conserverez avec vous en bagage cabine (pour éviter les fluctuations de température et les pertes de bagages), en respectant les règles de conservation propres à chaque médicament (dans une glacière ou à température ambiante). Attention : il est important de partir avec une quantité suffisante de médicaments, d'une part parce que selon la région du monde que vous visitez, les prix mais aussi les produits eux-mêmes peuvent être différents ; d'autre part, il ne faut pas oublier que nombreux sont les pays qui n'ont pas du tout d'accès au traitement ou ont des stocks limités de médicaments, et ne seront donc pas en mesure de vous en proposer.
- Carte Vitale ou carte européenne d'assurance maladie (si vous voyagez dans l'Union européenne<sup>3</sup>). Gratuite et valable 1 an, cette dernière garantit une prise en charge de vos frais médicaux, en fonction de la législation en vigueur dans votre pays de destination. La demande doit être adressée à l'Assurance maladie au moins 15 jours avant votre départ.
- Adresse du centre de traitement de l'hémophilie le plus proche de votre lieu de villégiature (ou de l'hôpital général s'il n'existe pas de CTH) et de l'association des hémophiles locale<sup>4</sup>.
- Un maillot de bain ou un gros pull.

1\* Retrouvez les modèles de lettres en français et en anglais sur le site Internet de l'AFH : [www.afh.asso.fr](http://www.afh.asso.fr)

2\* Des contrats d'assurance, applicables à des personnes concernées par une maladie chronique, existent mais l'efficacité du contrat dépend très largement de la longueur de votre séjour à l'étranger et de vos besoins en termes de médicaments. N'hésitez pas à contacter l'AFH pour plus de renseignements.

3\* Attention : au sein de l'UE certains pays, comme la Roumanie ou la Bulgarie, ont un accès extrêmement limité aux facteurs de coagulation.

4\* Retrouvez toutes les adresses sur les sites Internet de l'AFH et de la Fédération mondiale de l'hémophilie : [www.wfh.org](http://www.wfh.org)

## Nouvelles mesures de sécurité en vigueur dans les aéroports... Soyez vigilants



Depuis le 31 janvier 2014, la réglementation édictée par l'Union européenne sur les liquides pouvant voyager en cabine a quelque peu évolué. En effet, conformément à la réglementation européenne, les aéroports s'engagent à présent à inspecter-filtrer les liquides au moyen d'équipements spécifiques de détection d'explosifs liquides. Des exceptions de contrôle restent prévues, pour les liquides de moins de 100 ml placés dans un sac de 1 litre. Ainsi, les médicaments et produits à usage médical doivent être présentés séparément des bagages cabines et effets personnels lors du passage au contrôle de sûreté, et le passager doit être en mesure de justifier le caractère indispensable des produits transportés. Il est donc indispensable que vous vous présentiez à l'aéroport avec une prescription médicale et un courrier de votre médecin (**lire l'encart ci-contre**).

Nouvelles informations importantes :

- ▶ Vous pouvez dorénavant transporter l'intégralité de votre traitement pour la durée de votre séjour en bagage cabine. Les quantités transportées doivent être en relation avec la durée du séjour.
- ▶ Des contrôles de sûreté pourront être effectués sur les médicaments et produits à usages médicaux au moyen d'équipements spécifiques uniquement en cas de doute de l'agent de sûreté, sachant que les liquides à usage médical de moins de 100 ml sont exempts de tout contrôle.
- ▶ Les nouvelles mesures de sûreté prévoient que les agents peuvent être amenés à ouvrir les bouteilles ou flacons afin d'en inspecter le contenu. Attention : cette mesure n'est pas applicable pour les médicaments dérivés du sang et analogues recombinants. Vous êtes dans votre droit le plus légitime de refuser l'ouverture de votre médicament. Nous vous rappelons que s'il est ouvert par des agents, le produit antihémophilique sera corrompu et ne pourra pas être utilisé.

Alors, préparez bien vos bagages et bon voyage !

Marion Berthon-Elber  
Directrice générale



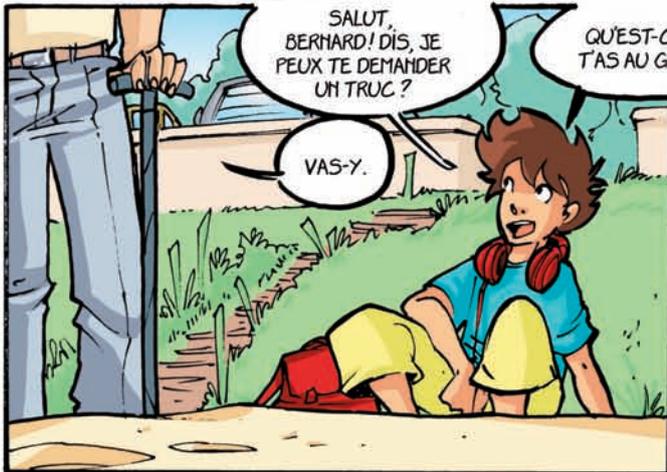
C'EST DANS CE CENTRE DE VACANCES QUE TU AS APPRIS À FAIRE TOI-MÊME LES INJECTIONS ?

NON, MAIS C'EST MON SÉJOUR DANS CE CENTRE QUI M'A VRAIMENT DONNÉ ENVIE D'ESSAYER. LES MÉDECINS ET LES INFIRMIERS NOUS ONT BEAUCOUP ENCOURAGÉS. ET TOUT CE QU'ON A FAIT, ÇA M'A DONNÉ ENVIE D'ÊTRE PLUS INDÉPENDANT. ET PUIS IL Y AVAIT BERNARD SURTOUT, LE PATIENT RESSOURCE. TU TE SOUVIENS ? JE T'AI PARLÉ DE LUI.



LE TYPE AVEC LA CANNE ?

OUI.



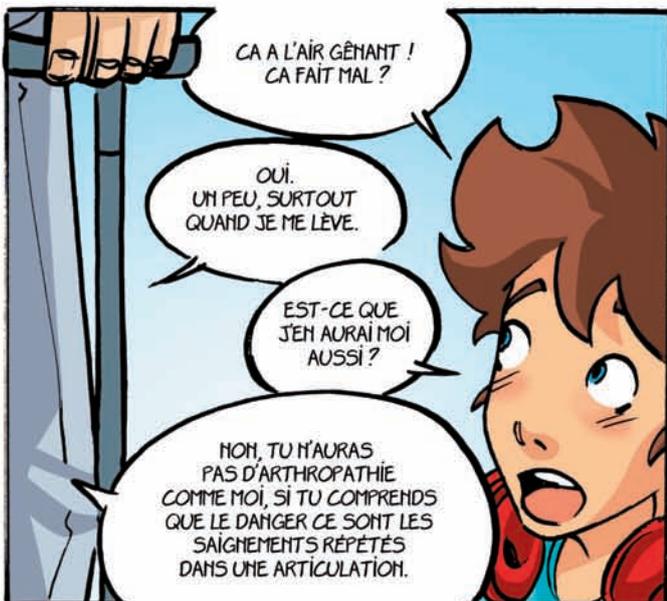
SALUT, BERNARD ! DIS, JE PEUX TE DEMANDER UN TRUC ?

QU'EST-CE QUE T'AS AU GENOU ?

VAS-Y.



AH, ÇA ! C'EST CE QUI S'APPELLE DE L'ARTHROPATHIE. A FORCE DE SAIGNER DANS LE GENOU, LE CARTILAGE S'ABÎME. AU FIL DU TEMPS, PLIER SON GENOU DEVIENT MOINS FACILE ET DU COUP J'AI DES DIFFICULTÉS POUR MARCHER. COMME SI J'ÉTAIS ROUILLÉ.



ÇA A L'AIR GÊNANT ! ÇA FAIT MAL ?

OUI, UN PEU, SURTOUT QUAND JE ME LÈVE.

EST-CE QUE J'EN AURAI MOI AUSSI ?

NON, TU N'AURAS PAS D'ARTHROPATHIE COMME MOI, SI TU COMPRENDS QUE LE DANGER CE SONT LES SAIGNEMENTS RÉPÉTÉS DANS UNE ARTICULATION.



IL FAUT DONC LES ÉVITER AU MAXIMUM ET POUR CELA SUIVRE SA PROPHYLAXIE. TU ES SOUS PROPHYLAXIE ?

OUAIS...



JE SAIS, CE N'EST PAS TOUJOURS SIMPLE. MAIS C'EST IMPORTANT. C'EST IMPORTANT... POUR TOI.

POUR MOI ?

► Retrouvez la suite des aventures d'Alexandre\* dans le prochain numéro de la revue et sur le site Internet de l'AFH ([www.afh.asso.fr](http://www.afh.asso.fr)) !

\* Avec le soutien d'Octapharma.

**ALPES**

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

**ALSACE**

Maison des associations  
1A, place des Orphelins  
67000 Strasbourg  
PRÉSIDENTE  
Cathy Bronner  
Tél. : 06 83 70 58 40 (portable)  
afh-alsace.cbronner@orange.fr  
afh-alsace.e-monsite.com

**AQUITAINE**

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

**AUVERGNE**

2<sup>e</sup> impasse du Rassat  
63000 Clermont-Ferrand  
PRÉSIDENT  
Christophe Besson  
Tél. : 06 82 14 10 50 (portable)  
afh.auvergne@free.fr

**BOURGOGNE-FRANCHE-COMTÉ**

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

**CENTRE**

38, rue du Vieux-Bourg  
45700 Villemandeur  
PRÉSIDENT  
Jean-François Duport  
Tél. : 02 38 98 28 16  
jean-francois.duport@wanadoo.fr  
www.afh-comitecentre.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 Sannière  
Tél. : 01 45 67 57 30  
06 07 38 02 44 (portable)  
thomas.sanniere@afh.asso.fr

**LANGUEDOC-ROUSSILLON**

7, rue Castel-Moton  
34000 Montpellier  
(intérim assuré par le siège national)  
Tél. : 01 45 67 77 67  
info@afh.asso.fr

**LIMOUSIN**

16, rue Haroun-Tazieff  
87350 Panazol  
PRÉSIDENT  
Guy Gabriel  
Tél. : 05 55 70 16 13  
guy.gabriel0684@orange.fr  
www.sante-limousin.fr/public/associations-  
dusagers/les-associations-membres/asso-  
ciation-francaise-des-hemophiles-comite-  
limousin-afh

**LORRAINE**

CTH de Lorraine  
Laboratoire d'hémostase  
CHU Brabois, rue du Morvan  
54511 Vandœuvre-lès-Nancy Cedex  
PRÉSIDENT  
Rémi Hurel  
Tél. : 03 83 44 04 55  
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  
www.afh-midipyrenees.fr

**NORD-PAS-DE-CALAIS**

5, rue de la Gare-Prolongée  
62220 Carvin  
PRÉSIDENTE  
Audrey Ledru  
Tél. : 03 21 37 21 16  
aureyledru@hotmail.fr  
www.afhnordpasdecalsais.org

**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**

CTH - CHU Hôtel-Dieu  
Place Alexis-Ricordeau  
44093 Nantes CEDEX 1  
PRÉSIDENT  
Bernard Daviet  
Tél. : 02 51 52 56 76  
06 73 41 93 51 (portable)  
afh.plpc@afh-plpc.org  
afhplpc.free.fr

**PICARDIE**

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

**PACA-CORSE**

Hôpital Sainte-Marguerite  
270, bd de Sainte-Marguerite  
13274 Marseille Cedex 09  
PRÉSIDENT  
Jean-Christophe Bosq  
Tél. : 09 61 04 82 64  
comite@afhwpacacorse.com  
www.afhwpacacorse.com

**RHÔNE-ALPES**

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

**Départements  
d'outre-mer**

**GUADELOUPE**

chez Arnaud Schaeffer  
Route de la Baie Olive-Cocoyer  
97118 Saint-François  
PRÉSIDENTE  
Vanessa Placidoux Jean-Bart  
Tél. : 06 90 59 36 84  
hemophiles971@hotmail.fr

**MARTINIQUE**

33, résidence les Moubins  
97228 Sainte-Luce  
PRÉSIDENT  
Justin Bonniat  
Tél. : 06 96 31 52 61  
justinbonniat@gmail.com

**RÉUNION**

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



**Association française  
des hémophiles**

Reconnue d'utilité publique par décret du 15 mai 1968  
Agréée par le ministère de la Santé par arrêtés du 18 décembre 2006  
et du 29 septembre 2011

**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

**Directrice générale :**

Marion Berthon-Elber  
Chargée de mission « Education thérapeutique du patient » :  
Sophie Aycaguer  
Chargée de communication et assistante de direction :  
Bérengère Blaize  
Secrétaire :  
Binta Diallo  
Chargée de mission « Adhérents, bénévoles et comités »  
et « Actions internationales » :  
Stacy-Ann Lee-Leloup  
Comptable :  
Aurélien Le Flaouter

**Conseil d'administration**

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

**Bureau**

Président : Thomas Sannière  
Secrétaire général, animateur groupe  
de travail « Communication » : Jean-Marc Dien  
Trésorier, animateur groupe de travail  
« Ressources humaines et finances » :  
Emmanuel Piot  
Animateur groupe de travail  
« Adhérents, bénévoles et comités » :  
Michel du Laurent de La Barre  
Animatrice groupe de travail  
« Actions internationales » : Nadège Pradines  
Animateur groupe de travail  
« Education thérapeutique du patient » :  
Ludovic Robin  
Animatrice groupe de travail  
« Recherche » : Geneviève Piéту  
Animateur groupe de travail  
« Santé publique » : Jean-Christophe Bosq

**Chargés de mission**

Commission « Famille » :  
Intérim assuré par le siège national  
Commission « Femmes » :  
Yannick Collé et Maryse Dien  
Commission « Jeunes adultes » :  
Dorothee Pradines  
Commission « Kinésithérapie » :  
Christian Fondanesche et Michel Raymond  
Commission « Pathologies plaquettaires » :  
Manuela Leurent  
Commission « Seniors » :  
Francis Fort  
Commission « Willebrand » :  
Misha Prout  
Internet, informatique et information santé :  
Jean-Michel Alcindor  
Questions juridiques :  
Jean Rivet  
Relations interassociatives :  
Gaétan Duport (CISS), Rémi Hurel (AMR) et  
Dorothee Pradines ([im]Patients, chroniques  
& associés), Olivia Romero-Lux (EHC)

**Sous-groupes de travail :**

Martin Briot (HECOS), Fabien Fazilleau (COC)

**Présidents d'honneur**

Jean-Louis Dubourdieu  
Norbert Ferré  
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  
Norbert Ferré 2005-2012