



11-13
SEPT.
2024

LILLE
GRAND PALAIS

CONGRÈS FRANÇAIS d'HÉMOSTASE



Prise en charge initiale de l'hémophilie sévère chez l'enfant : une enquête des pratiques au niveau national

Dr Olivia Pineau

Service de pédiatrie générale, immunologique et infectieuse
CRC des maladies hémorragiques constitutionnelles
CHU de Montpellier

Pour le Club de pédiatres en hémostase

INTRODUCTION

Problématiques de l'hémophilie

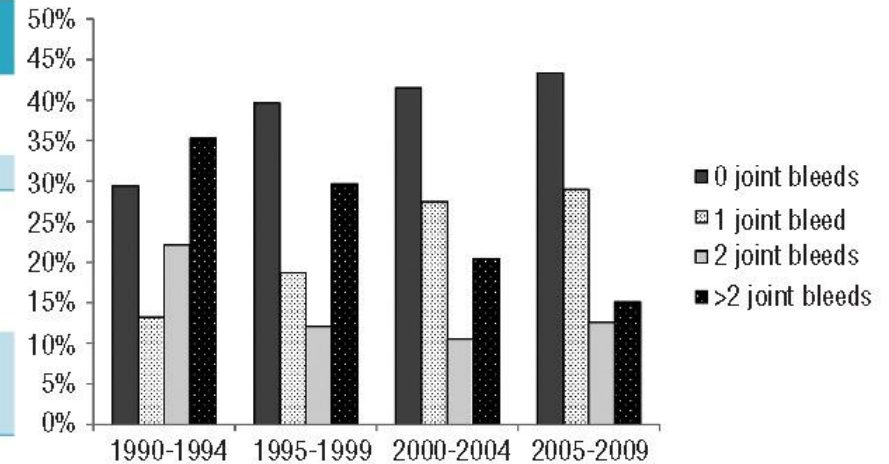
Limiter les saignements

Eviter la survenue d'inhibiteurs

Prophylaxie précoce

Birth cohort (Total n.)	1990-94 138	1995-99 172	2000-04 302	2005-09 307	P trend
N. on prophylaxis	74	101	202	238	
Age at start of prophylaxis (years)	1.6 (1.1-3.1)	2.1 (1.1-2.9)	1.4 (1.1-2.1)	1.3 (0.9-1.9)	<0.01
Bleeding before prophylaxis					
N. bleeds	6.5 (3.0-12.0)	4.0 (1.0-12.0)	4.0 (1.5-9.0)	3.0 (1.0-7.0)	<0.01
N. joint bleeds	2.0 (0.0-4.0)	1.0 (0.0-3.0)	1.0 (0.0-2.0)	1.0 (0.0-2.0)	<0.01
Primary prophylaxis					
PedNet definition (%)	65%	67%	86%	88%	<0.01
WFH definition (%)	35%	49%	67%	70%	<0.01

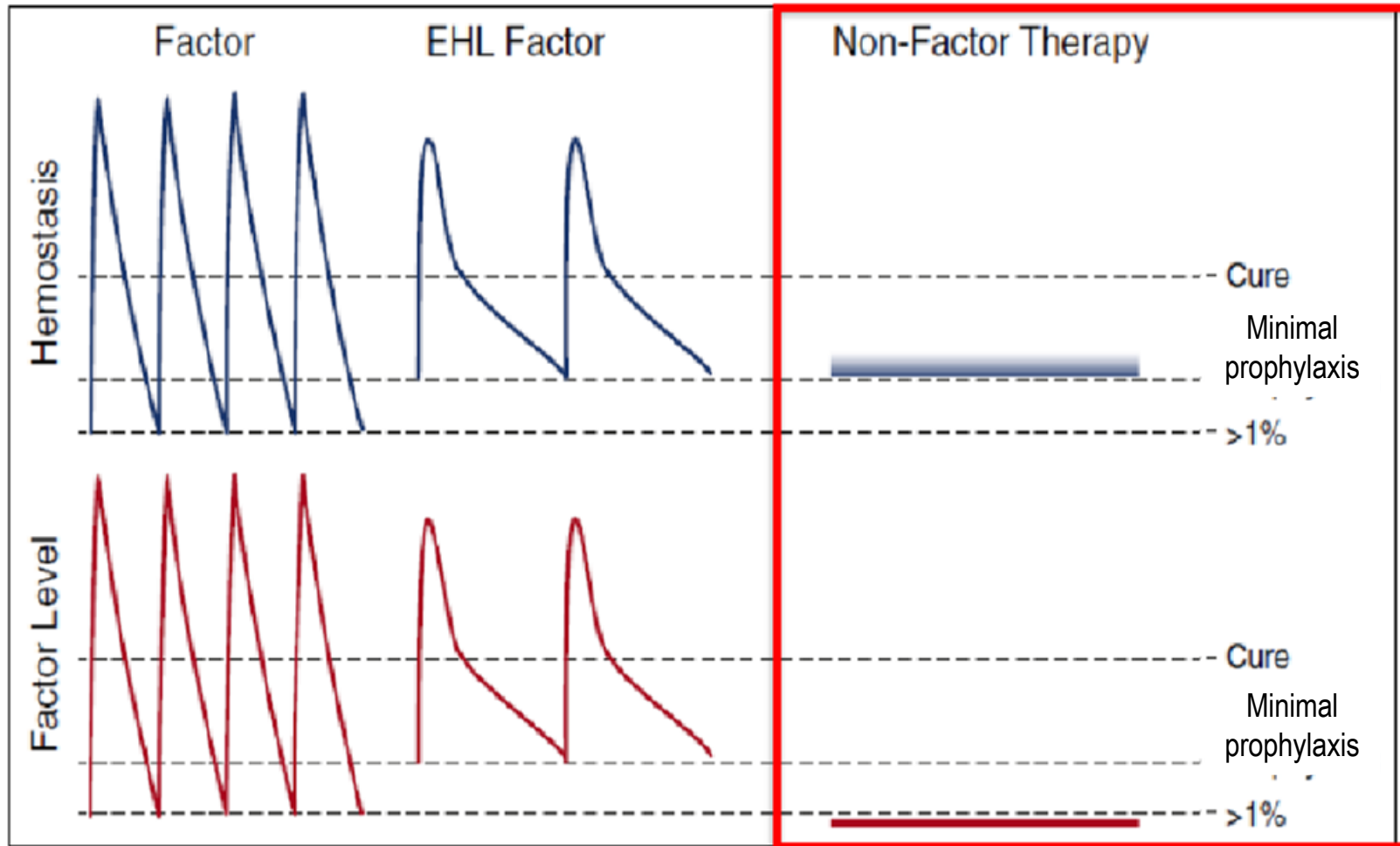
Values are numbers, medians (IQR) and percentages (%).



Nijdam A. PedNet and CANAL study groups. Bleeding before prophylaxis in severe hemophilia: paradigm shift over two decades. Haematologica. 2015 Mar;100(3):e84-6.

INTRODUCTION

Evolutions récentes de la prophylaxie



PROBLEMATIQUE ET METHODE

Recommandations :

Débuter une prophylaxie le plus tôt possible pour limiter les saignements graves et articulaires

Questions :

- 1/ Quand débuter la prophylaxie ?
- 2/ Quel médicament ?

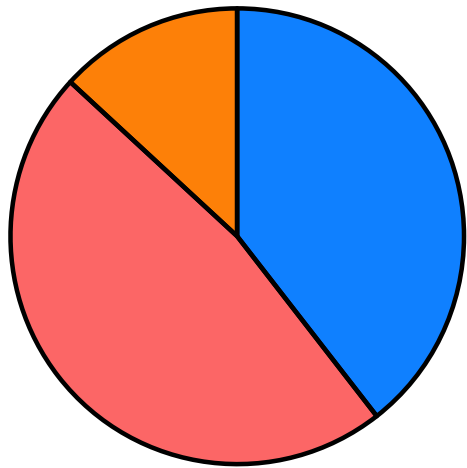
METHODE

Enquête des habitudes :

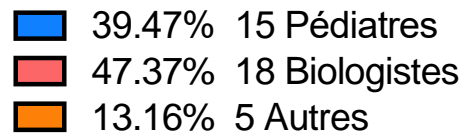
Questionnaire anonyme a été adressé aux médecins prenant en charge des patients hémophiles des centres de références, centre de ressource et de compétence et centre de traitement des maladies hémorragiques rares, par le Centre de référence Hémophilie (CRH) et la SFTH

RÉSULTATS

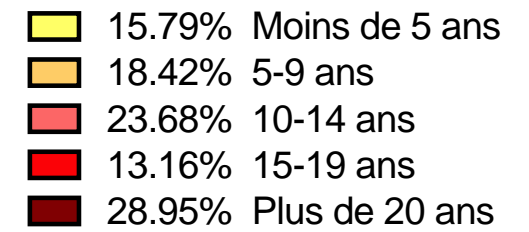
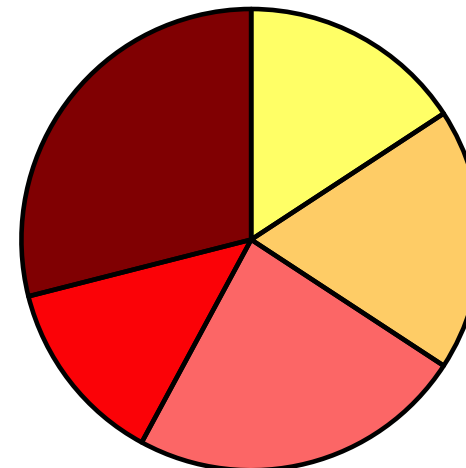
Description de la population : n=38



Total=38



Répartition des spécialités des médecins participants

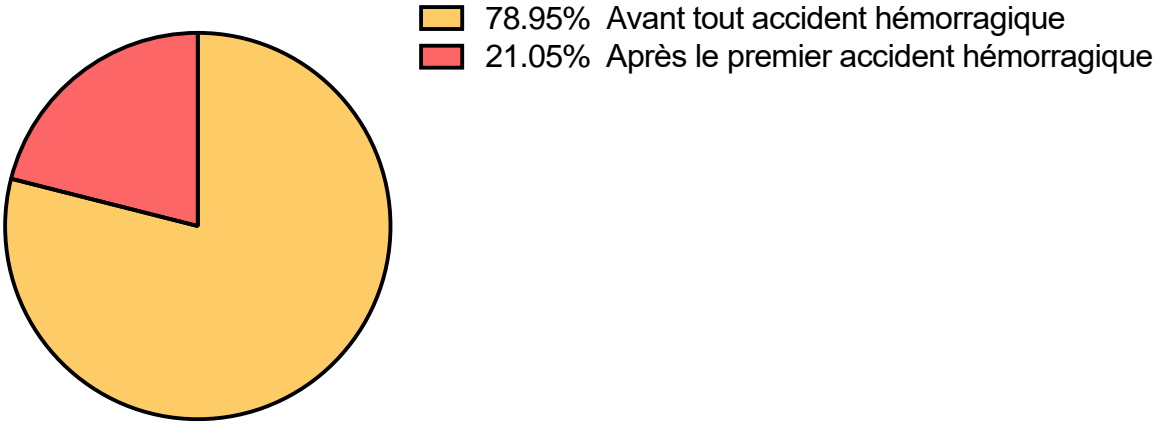


Expérience dans la prise en charge de patients hémophiles des participants

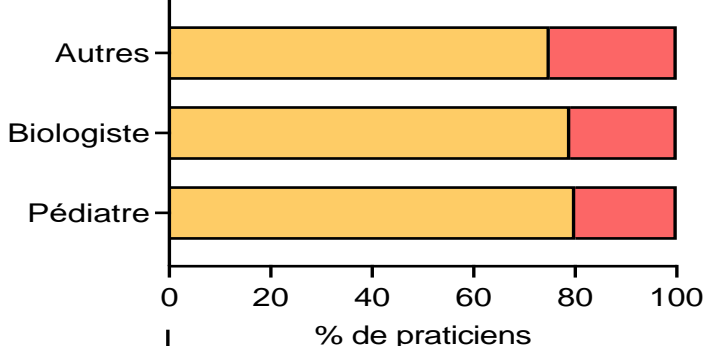
RÉSULTATS

Début de la prophylaxie

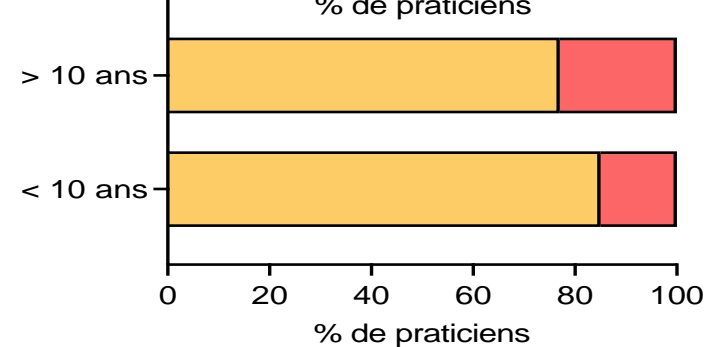
Moment d'instauration de la prophylaxie



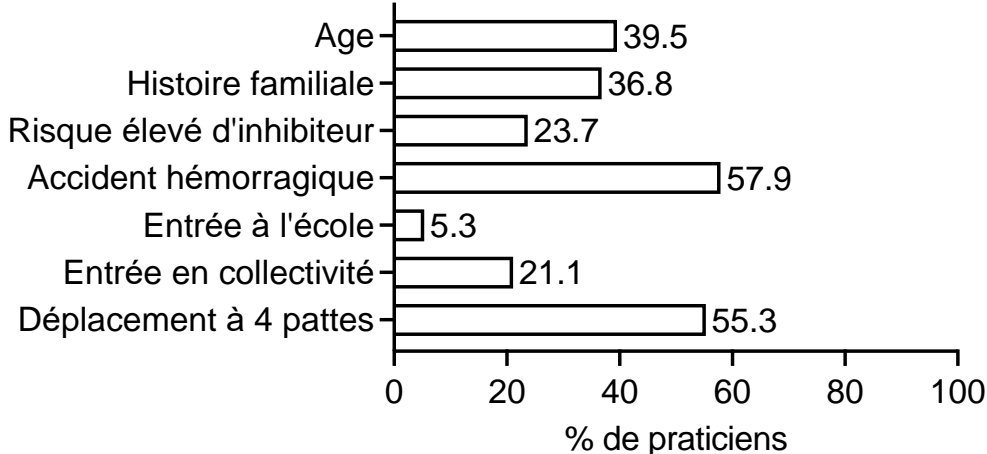
Selon la spécialité



Selon l'expérience



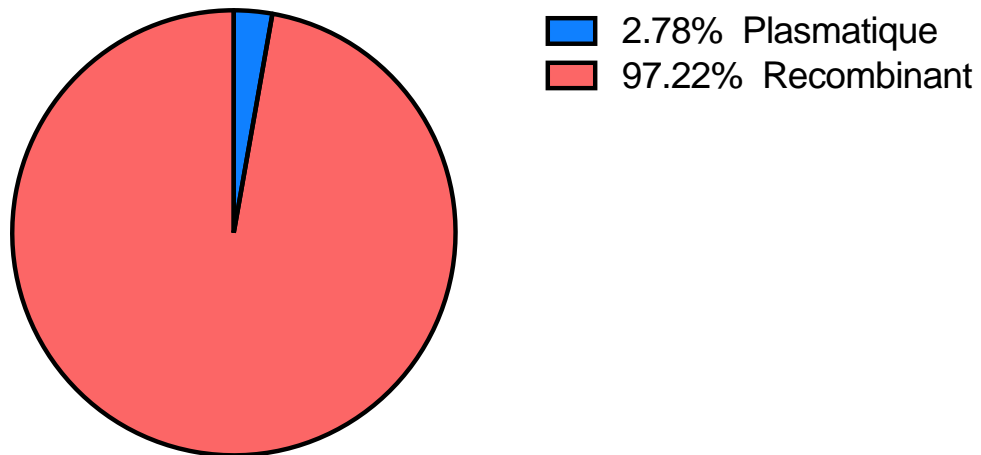
Facteurs faisant débiter une prophylaxie



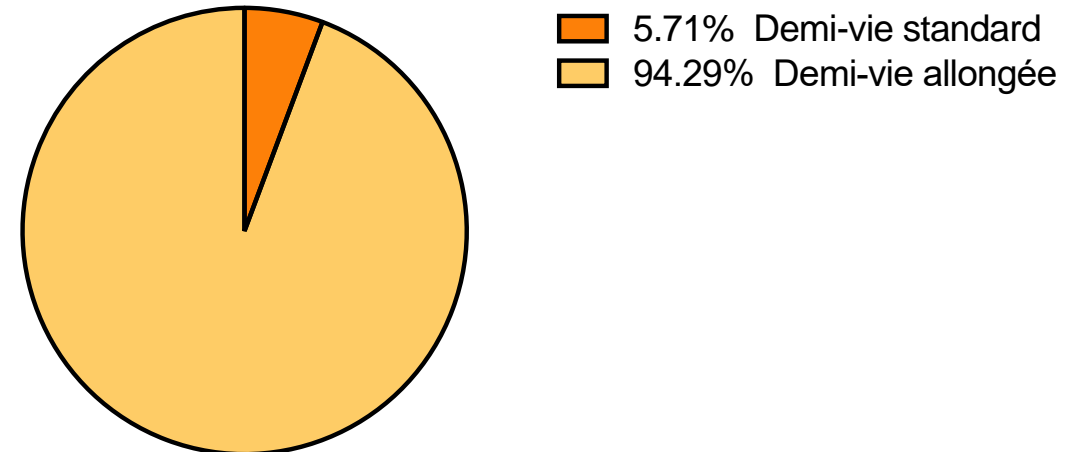
RÉSULTATS

HÉMOPHILIE B :

Type de facteurs IX utilisé le plus souvent en 1^{ère} intention pour débiter la prophylaxie



Type de facteur IX recombinant utilisé le plus souvent en 1^{ère} intention



DISCUSSIONS : hémophilie B

FAH à demi-vie
prolongée
largement
démocratisés

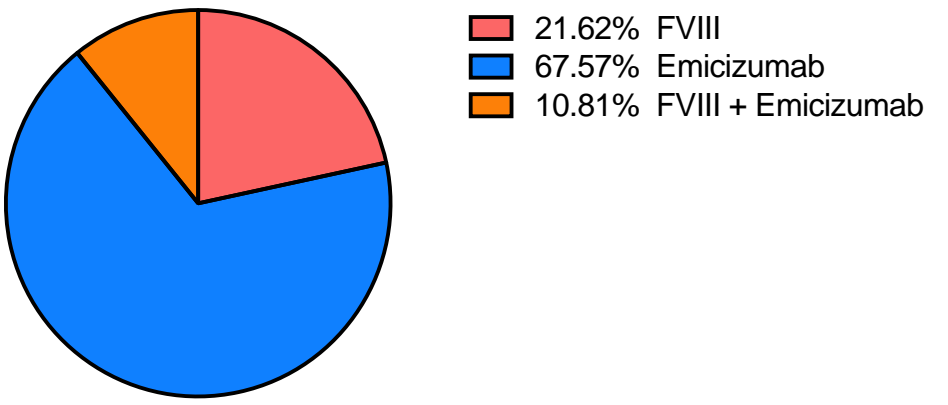
Permettent de
protéger le capital
veineux

Bonne protection
sans excès
d'inhibiteurs

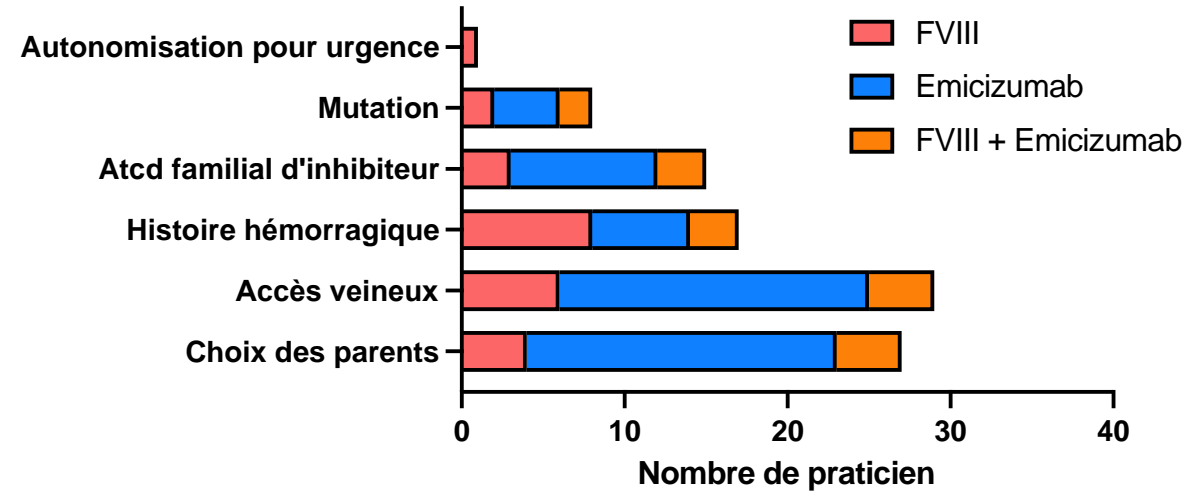
RÉSULTATS

HÉMOPHILIE A :

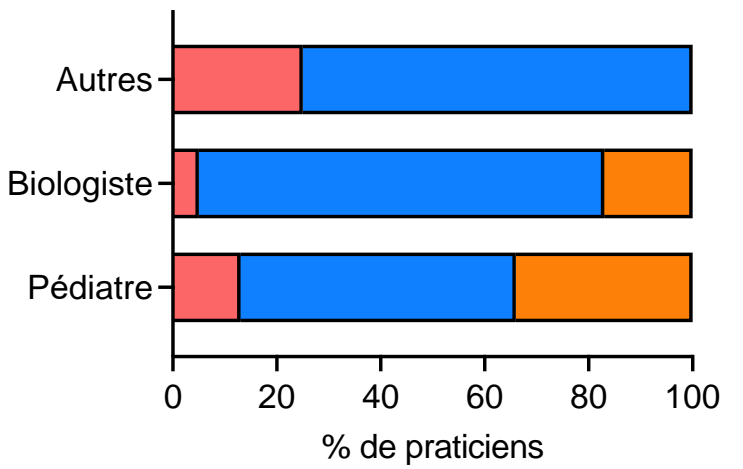
Traitement proposé le plus souvent en 1^{ère} intention



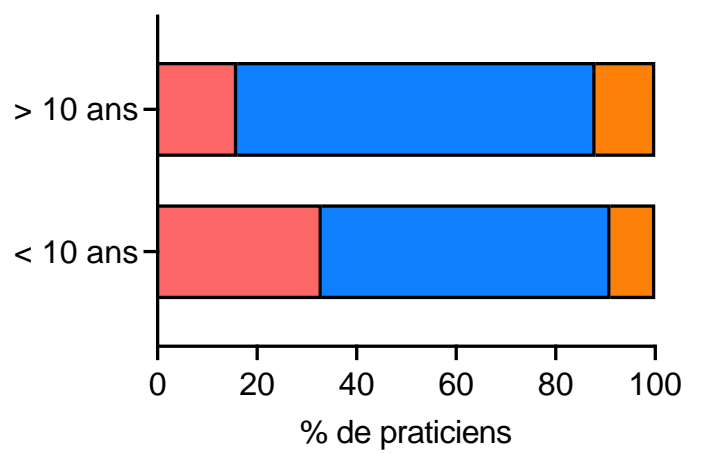
Facteurs influençant le choix du traitement



Selon la spécialité

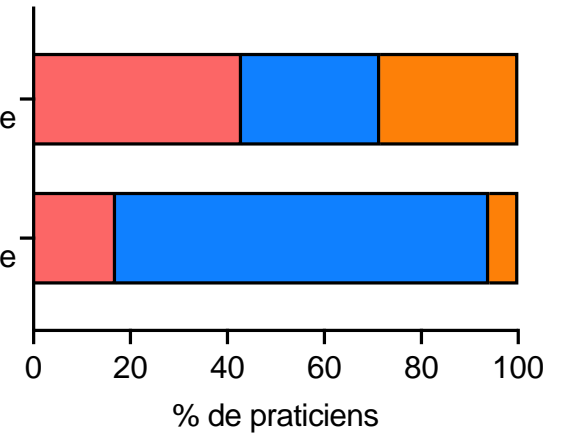


Selon l'expérience



Après le premier accident hémorragique

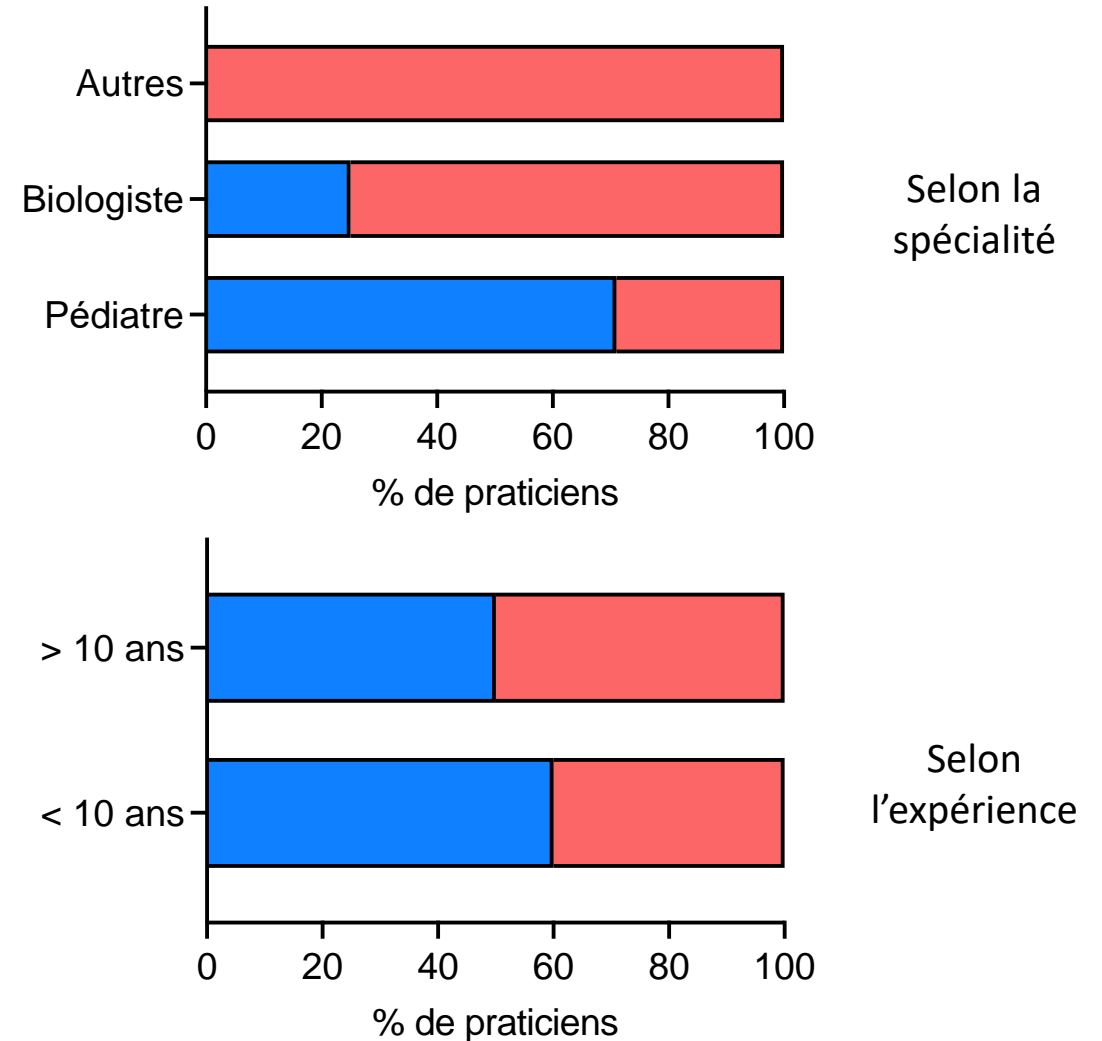
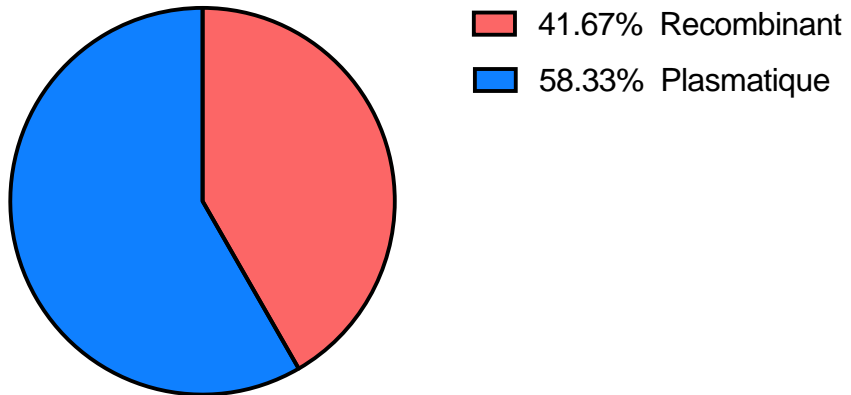
Avant tout accident hémorragique



RÉSULTATS

Utilisation du facteur VIII :

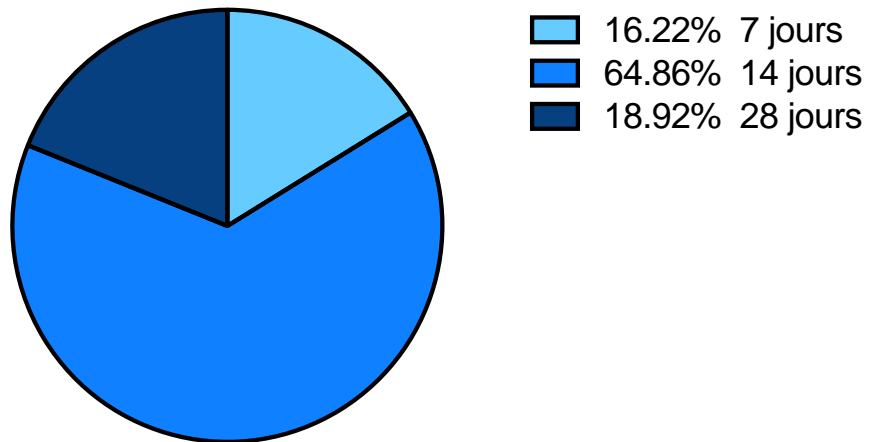
Type de facteurs VIII utilisé le plus souvent en 1^{ère} intention pour débiter la prophylaxie



RÉSULTATS

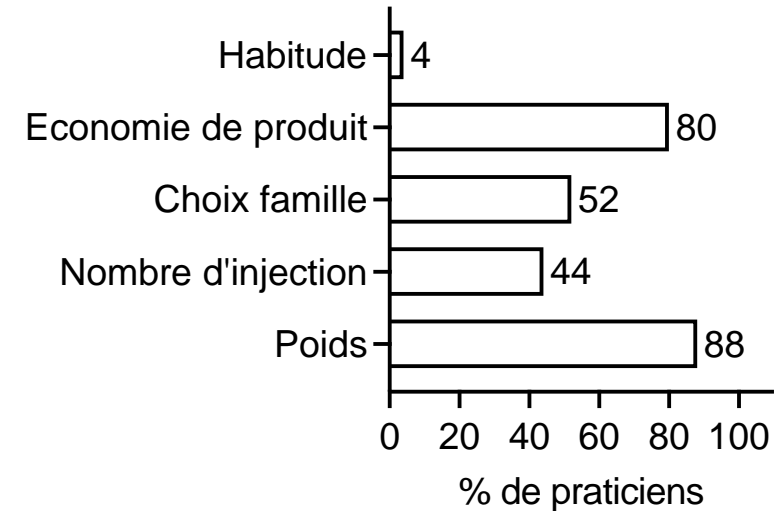
Utilisation de l'Emicizumab

Choix du schéma d'entretien le plus utilisé



Emicizumab seul n = 25
Emicizumab + FAH n = 4

Facteurs influençant la modalité d'administration de l'Emicizumab



DISCUSSIONS : hémophilie A

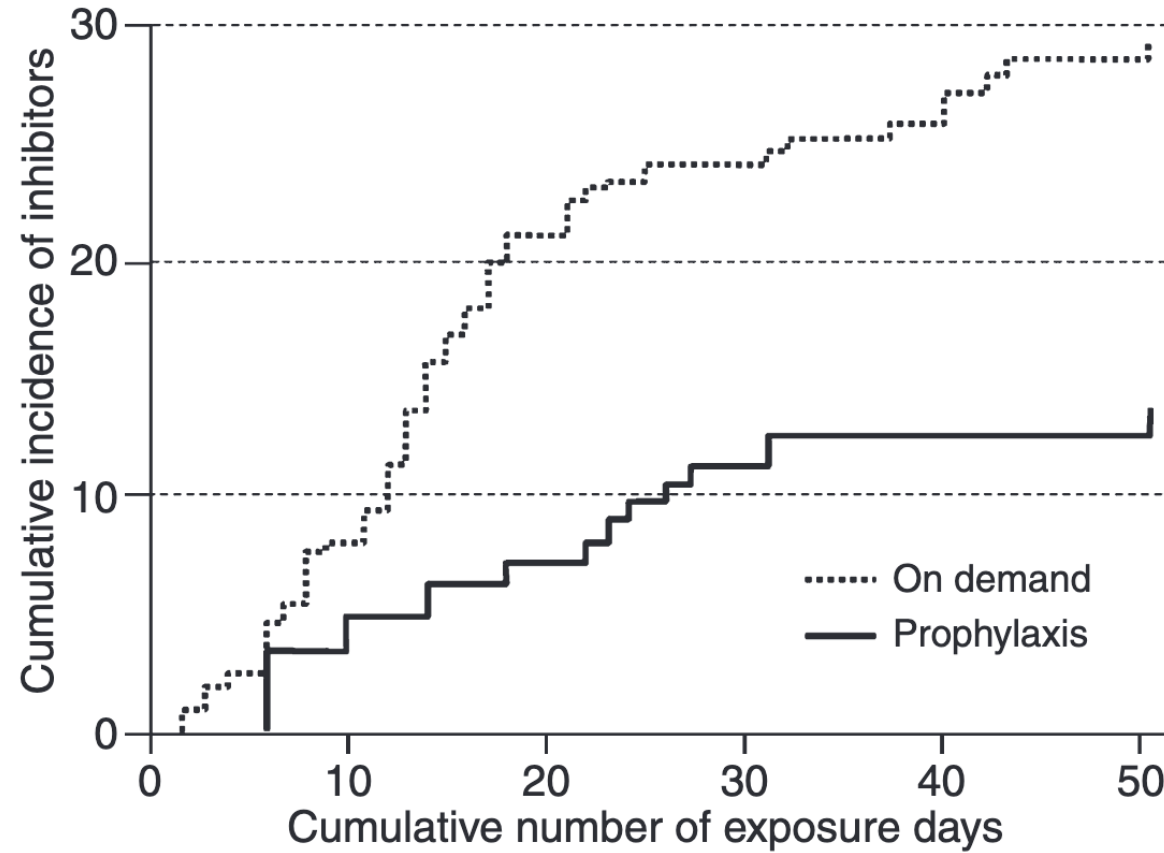
Prophylaxie non
substitutive
(Emicizumab) utilisée
en première intention

Débuté tôt (avant
tout accident
hémorragique)

Dose d'entretien
14 jours

DISCUSSIONS : hémophilie A

Risque
d'inhibiteurs
tardifs ?



DISCUSSIONS : hémophilie A

Santé osseuse ?

	Prophylactic treatment of severe haemophilia A		Test value	P-value	Sig.
	Negative	Positive			
	No. = 15	No. = 35			
Deformity bone					
Negative	5 (33.3%)	23 (65.7%)	4.468	.035	S
Positive	10 (66.7%)	12 (34.3%)			
25(OH) vit D3 (ng/mL)					
Mean ± SD	15.47 ± 2.92	18.5 ± 4.96	2.200	.033	S
Range	9.1 to 19.2	9 to 24.9			
DEXA z-score					
Median (IQR)	-1.00 (-1.1 to 0)	-1.20 (-1.8 to 0.4)	-2.508	.012	S
Range	-1.6 to 0.4	-2.6 to 0.9			

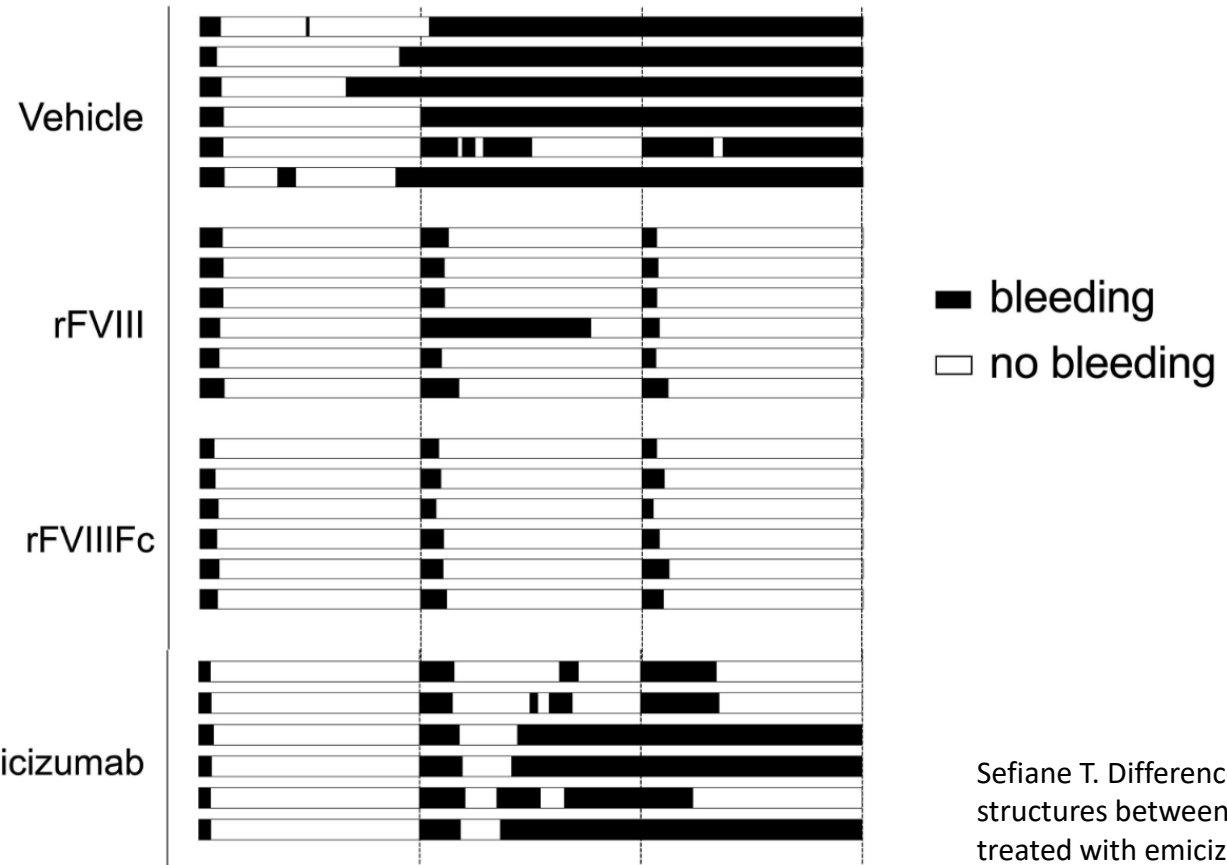
DISCUSSIONS : hémophilie A

Microsaignements et prise en charge plus tardive des accidents hémorragiques ?

Protection réellement équivalente ?

B

TVT with clot removal



Sefiane T. Differences in venous clot structures between hemophilic mice treated with emicizumab versus factor VIII or factor VIII Fc. Haematologica 2024;109(6):1836-1848

CONCLUSION

Facteurs longue durée d'action

Bien acceptés aujourd'hui

Mais toujours un besoin d'injections IV

Bientôt dans l'hémophilie A

Emicizumab

Largement utilisé actuellement dans 67% des cas en première intention

Couverture partielle

Encore des zones d'ombres

Et la suite ?

Consensus d'expert pour des recommandations

Répondre à ces questions

Place des facteurs longue durée d'action dans l'hémophilie A à venir vs Emicizumab

REMERCIEMENTS

Tous les participants à l'enquête

Plus particulièrement, Sophie Bayart, Caroline Oudot Challard, Sandrine Meunier et Alexandre Theron avec qui nous avons réalisés cette enquête



**Club des Pédiatres
en Hémostase**

