

# PROPHYLAXIE

Patients éligibles ou déjà sous prophylaxie



Un guide pour les  
patients créé avec  
la participation  
du Docteur Susan  
Halimeh

Centre Médical  
d'Hémostase et de  
Thrombose,  
Duisburg, Allemagne

## PROPHYLAXIE DANS LA MALADIE DE VON WILLEBRAND



# QUE SIGNIFIE LA PROPHYLAXIE?

Votre médecin pense que vous pourriez bénéficier d'une prophylaxie:

- ▶ Également appelée prophylaxie "secondaire" à long terme, elle prendra la forme d'un traitement de remplacement régulier et continu par le facteur de von Willebrand (concentré de vWF).<sup>1</sup>
- ▶ Le remplacement du vWF vous est déjà familier car vous l'avez probablement utilisé à la demande depuis votre diagnostic de la maladie de von Willebrand (maladie de vW).
- ▶ Une prophylaxie régulière est mise en place pour éviter des saignements répétés:
  - ▶ Par exemple, saignements de nez ou règles abondantes
    - ▶ qui peuvent entraîner l'anémie et la fatigue
  - ▶ Ou peut-être des saignements dont vous n'êtes même pas conscient, par ex. dans les intestins ou les articulations, qui peuvent, s'ils ne sont pas contrôlés, entraîner de graves complications:
    - ▶ telles que le développement d'articulations cibles et la maladie articulaire qui en résulte (arthropathie), les saignements gastrointestinaux récurrents et l'anémie sévère.<sup>2</sup>



*"De nouvelles études ont montré que l'utilisation de la prophylaxie présente des avantages chez les patients de tous âges atteints de la maladie de von Willebrand."<sup>2</sup>*



# DANS QUELLES CIRCONSTANCES POURRIEZ-VOUS BÉNÉFICIER D'UNE PROPHYLAXIE?

Votre médecin vous a recommandé une prophylaxie pour l'une des raisons suivantes:

- ▶ Vous avez obtenu un diagnostic de maladie de von Willebrand type 3:
  - ▶ La maladie de von Willebrand type 3 se caractérise par l'absence de vWF, vous pouvez donc souffrir de saignements incontrôlés ou spontanés<sup>2</sup>.
- ▶ Votre diagnostic est la maladie de von Willebrand type 2 ou type 1, mais vous aviez des symptômes hémorragiques graves ou récurrents avant le diagnostic:
  - ▶ Score de saignement (SS) \* > 2 points<sup>2</sup>
    - Le SS aide à prédire les résultats cliniques chez les patients adultes atteints de la maladie de vW.<sup>2</sup>
    - Un SS élevé est en corrélation avec une thérapie intensive à la demande.<sup>1</sup>
- ▶ Vous avez eu des saignements récurrents au cours des derniers mois/années:
  - ▶ Saignements articulaires, saignements gastro-intestinaux ou saignements cliniquement significatifs au cours des 12 derniers mois avec un traitement à la demande entraînant une déficience en fer et une anémie cliniquement pertinente.<sup>2</sup>

\*le score de saignement est calculé en additionnant tous les épisodes hémorragiques les plus sévères rapportés par le patient au cours de l'année écoulée, il a une échelle de 0 à 3.<sup>2</sup>



# VOTRE TRAITEMENT SERA ADAPTÉ À VOTRE SITUATION PARTICULIÈRE

Il n'y a pas de protocole unique utilisé en prophylaxie:

- ▶ La prophylaxie nécessite toujours l'utilisation d'une thérapie de remplacement avec des concentrés de vWF.<sup>1</sup>
- ▶ Le dosage et le schéma d'injection du concentré de vWF seront décidés par votre médecin en fonction de votre risque.<sup>1</sup>
- ▶ A titre indicatif:
  - ▶ La dose médiane de vWF utilisée est de 40 UI/kg<sup>2</sup>
  - ▶ À une fréquence de ~deux fois par semaine<sup>2</sup>
- ▶ Votre médecin surveillera la fréquence de vos saignements et les taux de facteurs sanguins afin d'adapter votre traitement si nécessaire.<sup>3</sup>



*"Dans la maladie de vW, la prophylaxie est définie comme la réception de perfusions de vWF au moins une fois par semaine pour prévenir ou diminuer la gravité des saignements avec l'intention de maintenir ce régime pendant 45 semaines ou plus par an.<sup>2</sup>"*

## LA PROPHYLAXIE EST BÉNÉFIQUE POUR LES PATIENTS DE TOUS ÂGES ATTEINTS DE LA MALADIE DE VW (DATA ON FILE)



**OLIVIA, 2 ans,**  
a reçu le diagnostic de maladie de vW  
type 3 à l'âge de 18 mois.

Immédiatement après sa naissance, on a découvert qu'elle avait des ecchymoses, des saignements des muqueuses et du sang retenu dans ses selles. Depuis lors, elle a souffert à plusieurs reprises d'ecchymoses et d'anémie. Sa qualité de vie a été considérablement altérée par une fatigue intense. Il y a quatre mois, il a été décidé de la mettre en prophylaxie pour éviter d'autres saignements. Elle a commencé un régime de 500 UI de vWF tous les 10 jours et n'a eu aucun saignement ou anémie depuis lors et surtout, elle n'est plus fatiguée. Elle poursuit ce régime pour le moment.

**EMILY, 12ans, diagnostiquée à  
l'âge d'un an  
avec la maladie vW type 2 A+N.**

Sa vie a été ponctuée de saignements abondants du nez et de la bouche et, depuis la puberté, de graves ménorragies. Elle a eu des saignements menstruels qui ont duré jusqu'à 14 jours par mois, provoquant une anémie et une fatigue extrême. Ces saignements abondants signifiaient également qu'elle devait manquer plusieurs jours d'école chaque mois, affectant gravement sa sa qualité de vie. Il y a 18 mois, elle a commencé un protocole de prophylaxie de 4000 UI de vWF deux fois par semaine et pendant les menstruations. Ce régime a raccourci ses saignements mensuels à 6 jours et son anémie est sous contrôle. Elle peut aller à l'école à plein temps et sa vie est devenue «normale». Il n'y a actuellement aucune raison de modifier son protocole prophylactique.



**BETH, 34 ans,**  
**diagnostiquée il y a deux ans**  
**avec la maladie vW type 2M.**

Bien qu'elle ait toujours été sujette à des saignements postopératoires, des saignements de nez et des règles abondantes, la maladie de vW n'a été diagnostiquée qu'après avoir fait une fausse couche à la suite d'hématomes placentaires massifs. Même lorsqu'elle a été traitée pour la maladie de von Willebrand, elle a continué à souffrir d'anémie et a fait plusieurs fausses couches en raison de saignements et d'ecchymoses placentaires. Cela l'a rendue très déprimée. Elle est tombée enceinte à nouveau cette année, cette fois des jumeaux. Lorsque les saignements ont commencé au début de la grossesse, il a été décidé d'essayer la prophylaxie et elle a commencé un régime de 3000 UI de vWF deux fois par semaine. Cela lui a permis d'avoir une grossesse sans autre saignement et de donner naissance à des bébés en bonne santé. Elle est sous prophylaxie depuis 6 mois déjà et il n'y a pas de plans immédiats pour changer son régime.

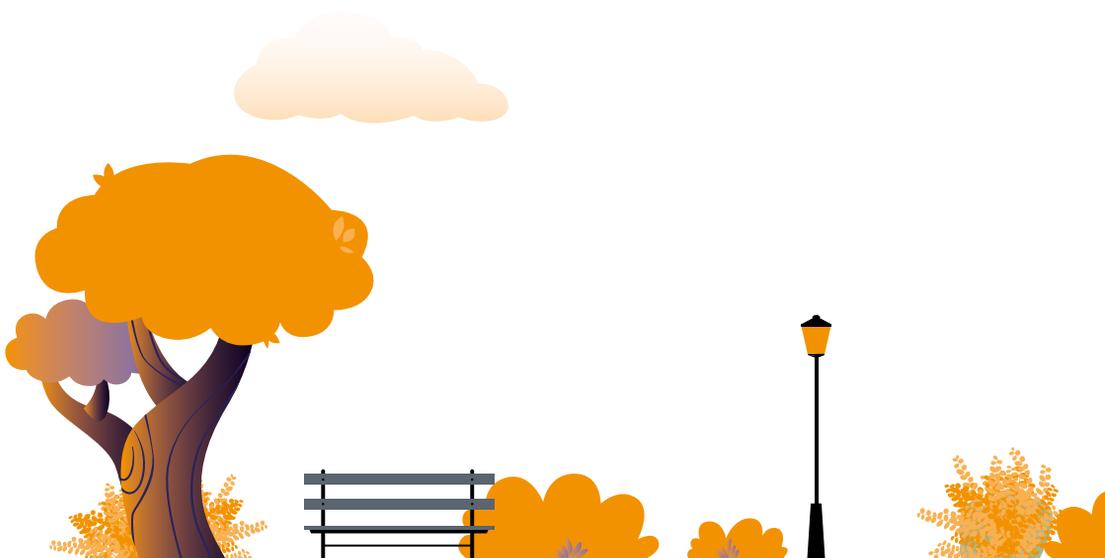


# LA PROPHYLAXIE EST BÉNÉFIQUE POUR LES PATIENTS ATTEINTS DE LA MALADIE DE VW À TOUTES LES PHASES DE LA VIE

**JESSICA**, 26 ans, sait qu'elle est atteinte de la maladie de vW type 2A depuis l'âge de 21 ans.

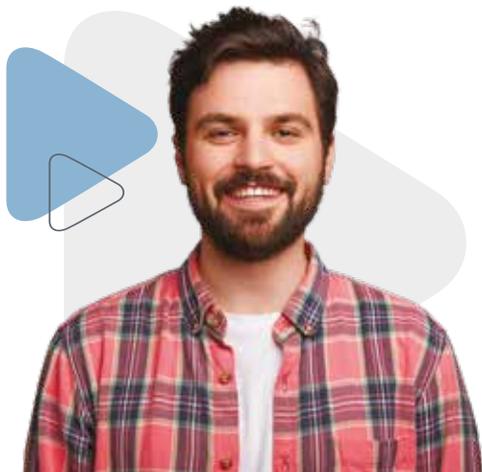
Aussi loin qu'elle se souvienne, elle a souffert de saignements de nez fréquents et de règles abondantes qui l'ont amenée à souffrir d'anémie. Malgré le traitement, elle avait encore des saignements mensuels d'une durée de 20 jours, ce qui signifiait qu'elle devait s'absenter du travail car elle

était constamment anémique et fatiguée. Pour remédier à la situation, on lui a prescrit une prophylaxie de 2000 UI de vWF une fois par semaine, y compris pendant les menstruations. Elle a maintenant des saignements uniquement 3 jours par mois, n'a pas d'anémie et est capable d'apprécier son travail. Son état est stable depuis 3 ans en suivant ce protocole.



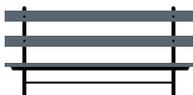
**TIGRAN, 24 ans,**  
a la maladie de vW type 3.

Il a souffert de graves saignements articulaires aux genoux et aux coudes, provoquant un gonflement et des douleurs chroniques qui réduisaient sa mobilité. Cela a eu un impact majeur sur sa qualité de vie. Afin d'arrêter les saignements articulaires, il a été soumis à un régime prophylactique de 3000 UI de vWF, 3 fois par semaine. Le changement a été visible quasi immédiatement. Sans saignement articulaire, il ne souffrait plus et il sentait que sa vie était « revenue à la normale ». Il a commencé à s'entraîner et a pris du muscle, ce qui signifie que son VWF prophylactique a dû être ajusté à 4000 UI de vWF 3 fois par semaine afin d'éviter d'autres saignements.



**CHARLIE, 79 ans,**  
a la maladie de von Willebrand de  
type 2A.

Suite à une opération de l'urètre, il a remarqué du sang dans ses urines. Le problème est devenu persistant et il est devenu gravement anémique. La fatigue qui accompagnait son anémie signifiait que sa routine quotidienne était complètement compromise. Il y a trois ans, afin de contrôler cette perte de sang, un régime de 2000 UI de vWF une fois par semaine a été lancé. Depuis lors, il n'a plus eu d'épisodes hémorragiques et son anémie est contrôlée. Plus fatigué, il peut à nouveau profiter de la vie. Il n'est actuellement pas nécessaire de modifier ce protocole de prophylaxie.



## LA PROPHYLAXIE EN PRATIQUE

Normalement, vous pouvez administrer votre prophylaxie en toute sécurité à la maison. Cependant, comme une perfusion intraveineuse dans une veine de votre bras est nécessaire, vous préférerez peut-être qu'elle soit administrée par une infirmière ou un soignant.

- Discutez avec votre équipe médicale des différentes options disponibles.

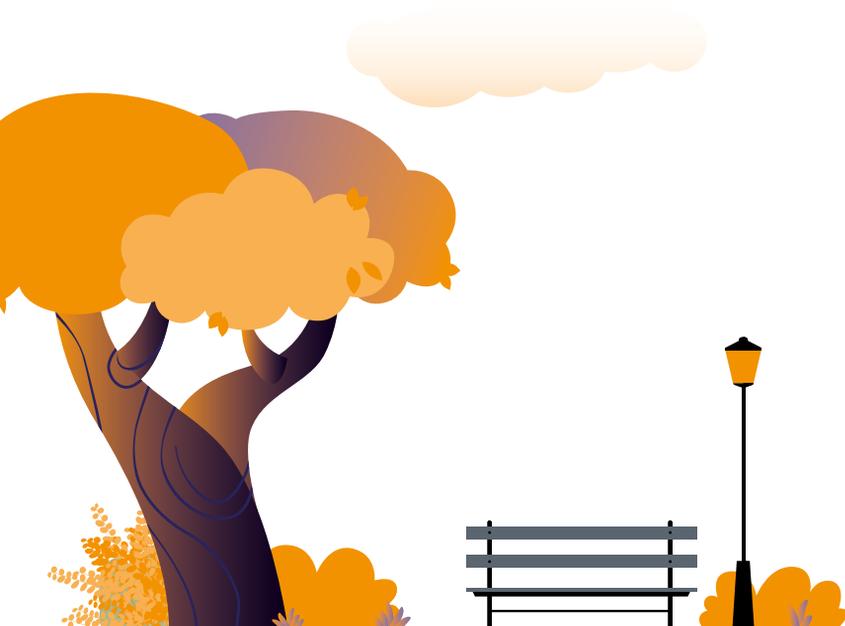


# LES AVANTAGES D'UNE PROPHYLAXIE

Les patients qui commencent la prophylaxie bénéficient de nombreux avantages:

- ▶ Moins d'épisodes hémorragiques<sup>3</sup>
- ▶ Meilleure santé globale<sup>3</sup>
- ▶ Moins de temps aux urgences et/ou à l'hôpital<sup>3</sup>
- ▶ Meilleure qualité de vie<sup>3</sup> :
  - ▶ Une vie plus "normale"
  - ▶ Plus d'énergie
  - ▶ Moins de soucis et de stress

Les concentrés de vWF sont également très sûrs et bien tolérés, comme observé au cours des années d'utilisation chez des patients de tous âges et avec tous les types de VWD.<sup>4</sup>



# MON PARCOURS EN PROPHYLAXIE

Il existe différents concentrés de vWF disponibles aujourd'hui - avec et sans facteur VIII (FVIII).<sup>3</sup>

Suite à la discussion avec votre médecin sur les avantages de la prophylaxie à long terme pour vous, il pourrait vous recommander d'utiliser un concentré de vWF sans FVIII comme le choix le plus approprié pour vous aujourd'hui.

Contacts utiles

**MON CENTRE  
D'HEMATOLOGIE**

**AHVH  
ORGANISATION DE PATIENT  
BELGIQUE  
HTTP://WWW.AHVH.BE  
INFO@AHVH.BE**

## Références

1. Federici AB. Prophylaxis in patients with von Willebrand disease: who, when, how? J Thromb Haemost 2015;13:1581-4.
2. Halimeh S et al. Long-term secondary prophylaxis in children, adolescents and young adults with von Willebrand disease: Results of a cohort study. Thromb Haemost 2011; 105: 597-604.
3. Connell NT et al. ASH ISTH NHF WFH 2021 guidelines on the management of von Willebrand disease. Blood Adv. 2021;5:301-325.
4. Goudemand J et al. Management of von Willebrand disease with a factor VIII-poor von Willebrand factor concentrate: results from a prospective observational post-marketing study. J Thromb Haemost. 2020;18:1922-33.

Cachet du médecin:

