

Pourquoi le
facteur VIII
est-il si important
dans le traitement
de l'hémophilie A?

Table des matières

FVIII – bon à savoir: 10 faits intéressants	4
Le FVIII – une véritable pierre angulaire	6
Le FVIII – un facteur responsable de la coagulation sanguine, mais pas seulement	7
La thérapie par FVIII – pour tous les âges et sur mesure	8
La thérapie par FVIII – moins de saignements articulaires en cas d'hémophilie A	9
Habituer le corps au traitement par FVIII	10



Pour des raisons de lisibilité, nous avons renoncé à l'utilisation simultanée des formes masculines, féminines et diverses (h/f/d). Toutes les désignations de personnes s'appliquent de la même manière à tous les sexes.

Préambule

Le facteur VIII (FVIII) est un facteur de coagulation sanguine présent dans le corps humain. Si le FVIII est absent ou ne fonctionne pas correctement, cela entraîne une tendance aux saignements. On parle alors d'hémophilie A. Le traitement de l'hémophilie A consiste à remplacer le FVIII ou sa fonction dans l'organisme.

Au cours des 20 dernières années, le traitement de l'hémophilie a connu des avancées remarquables dans le domaine des préparations de facteurs. Ces préparations présentent aujourd'hui une grande sécurité contre les contaminations virales et une demi-vie nettement plus longue que les produits de facteurs plus anciens.

Grâce à ces progrès, il est non seulement possible de prévenir de manière optimale les hémorragies potentiellement mortelles ainsi que les hémorragies musculaires et articulaires, mais aussi d'adapter le traitement de l'hémophilie aux besoins spécifiques de chaque personne. Cela permet aux patients hémophiles de mener une vie épanouie avec moins de contraintes, de faire du sport et de consacrer plus de temps aux plaisirs de la vie, ce qui était impensable il y a quelques années.

La présente brochure s'adresse aux patients atteints d'hémophilie A, pour lesquels un traitement par facteur est indiqué en première ligne, et à leurs proches qui souhaitent s'informer sur les différents aspects du traitement moderne par les préparations de FVIII.



Prof. Dr Manuela Albisetti
Médecin-chef en hématologie



Dr Alessandra Bosch
Cheffe de clinique en hématologie

Nous remercions chaleureusement le **Prof. Lorenzo Alberio** pour son soutien en tant que spécialiste, la vérification et le complément de la présente brochure pour la Suisse romande.

FVIII – bon à savoir: 10 faits intéressants

Le paysage du traitement de l'hémophilie est aujourd'hui très complexe, et il est fréquent de s'y perdre. La présente brochure a pour but de vous présenter 10 raisons pour lesquelles le traitement par facteur est important. Celles-ci sont brièvement résumées ci-dessous. Dans les pages suivantes, vous trouverez des informations complémentaires sur certains points. Si vous avez des questions ou des doutes, adressez-vous comme toujours à votre équipe soignante.

1 Le FVIII – une véritable pierre angulaire

Le facteur VIII (FVIII) est présent chez les vertébrés depuis plus de 400 millions d'années et est largement répandu dans le monde animal. Il est physiologique et naturel. **Plus d'informations à la page 6**

2 La nature a développé un «mécanisme de désactivation» des facteurs. Cela signifie que si le facteur n'est plus utilisé, il se décompose automatiquement afin qu'il n'y ait pas trop de facteur dans le corps.

3 Le FVIII – un facteur responsable de la coagulation sanguine, mais pas seulement

Il est possible que le FVIII joue d'autres rôles dans l'organisme que celui lié à la coagulation, par exemple dans le métabolisme des os. **Plus d'informations à la page 7**

4 Il y a 50 ans, l'isolement de concentrés de facteurs dérivés du plasma sanguin a révolutionné le traitement de l'hémophilie. Depuis lors, le mécanisme d'action du FVIII a été bien étudié, et les concentrés de FVIII recombinant, qui ne sont plus extraits de plasma purifié, constituent le traitement de référence.



5

La thérapie par FVIII – pour tous les âges et sur mesure

Les préparations de FVIII conviennent à tous les âges, à tous les degrés de sévérité et pour de nombreuses situations cliniques (prophylaxie, traitement des hémorragies, interventions chirurgicales). Une substitution de facteur permet d'atteindre pendant un certain temps un taux de facteur situé dans la plage non hémophile (> 40 UI/dl ou $> 40\%$). **Plus d'informations à la page 8**

6

La thérapie par FVIII – moins de saignements articulaires en cas d'hémophilie A

Plus le taux de FVIII est élevé, plus on se rapproche de la plage non hémophile (> 40 UI/dl ou $> 40\%$). Par conséquent, il peut y avoir moins de saignements traumatiques ou spontanés des articulations et autres, ce qui préserve la santé des articulations. **Plus d'informations à la page 9**

7

La thérapie par FVIII – pour tous les âges et sur mesure

Les préparations de FVIII offrent une grande flexibilité et permettent d'adapter le traitement aux besoins et aux objectifs de chacun. **Plus d'informations à la page 8**

8

Les préparations de FVIII représentent jusqu'à aujourd'hui le seul traitement utilisé lors des hémorragies et des interventions chirurgicales. La prophylaxie par facteurs permet de ne pas désapprendre à faire des injections si une substitution de facteur s'avère nécessaire dans certaines situations.

9

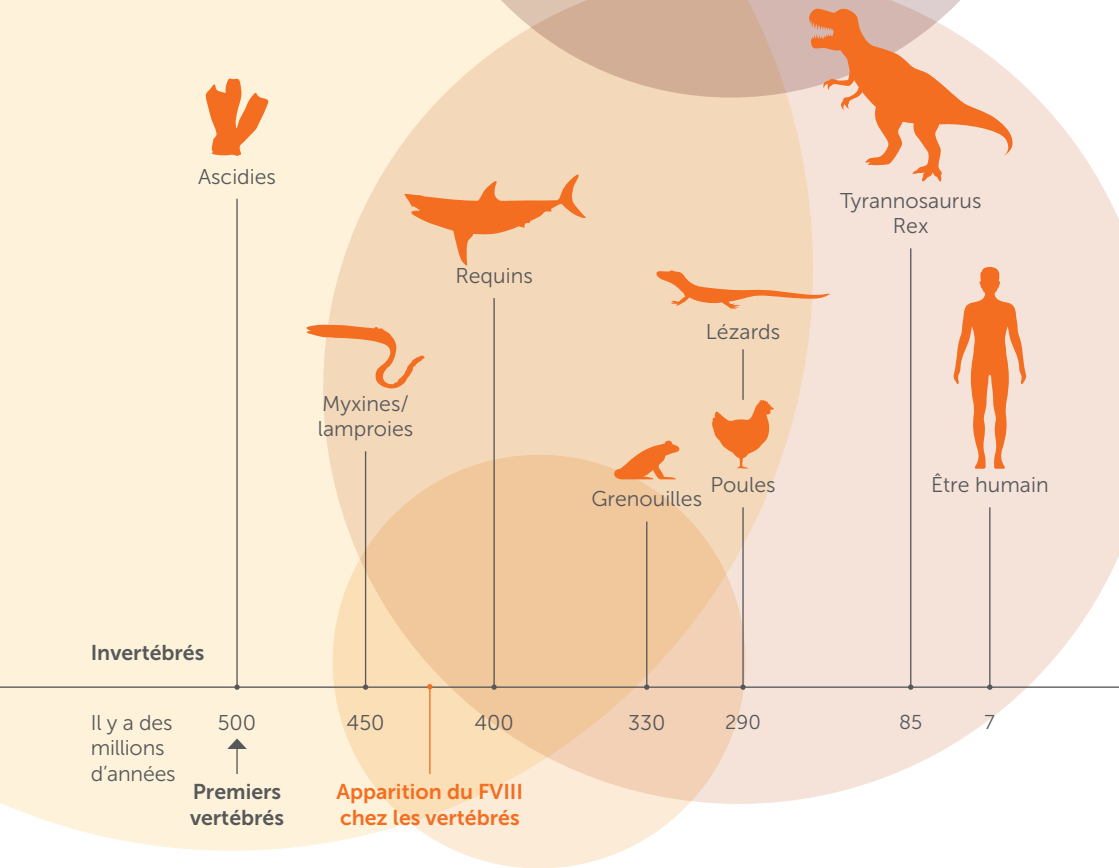
La concentration de FVIII dans le sang est facile à mesurer, ce qui est particulièrement important lors des interventions chirurgicales.

10

Habituer le corps au traitement par FVIII

Une substitution régulière de FVIII aide le corps à s'y habituer. Le risque de développer des inhibiteurs est ainsi réduit. **Plus d'informations à la page 10**

Le FVIII – une véritable pierre angulaire



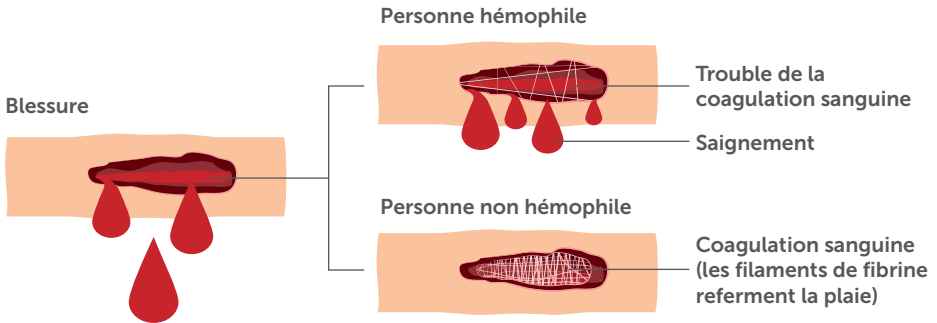
Le schéma ci-dessus illustre l'évolution des vertébrés. Le développement du FVIII (en orange) remonte à plus de 400 millions d'années, bien avant l'apparition des dinosaures ou de l'être humain.

Le FVIII est donc une très ancienne invention de la nature, largement répandue chez les vertébrés.

Doolittle RF. Step-by-step evolution of vertebrate blood coagulation. Cold Spring Harb Symp Quant Biol. 2009;74:35–40.

Le FVIII – un facteur responsable de la coagulation sanguine, mais pas seulement

Le FVIII joue un rôle important dans la coagulation sanguine. Si ce facteur fait défaut ou ne fonctionne pas correctement, les saignements sont plus fréquents: on parle d'hémophilie A.



Étant donné que le FVIII est présent chez les vertébrés depuis plus de 400 millions d'années, il est tout à fait possible que ce facteur remplisse d'autres fonctions que celles liées à la coagulation sanguine. Des expériences menées sur des souris ont notamment montré que le FVIII joue également un rôle essentiel dans le métabolisme des os.

Autres fonctions avérées et potentielles du FVIII



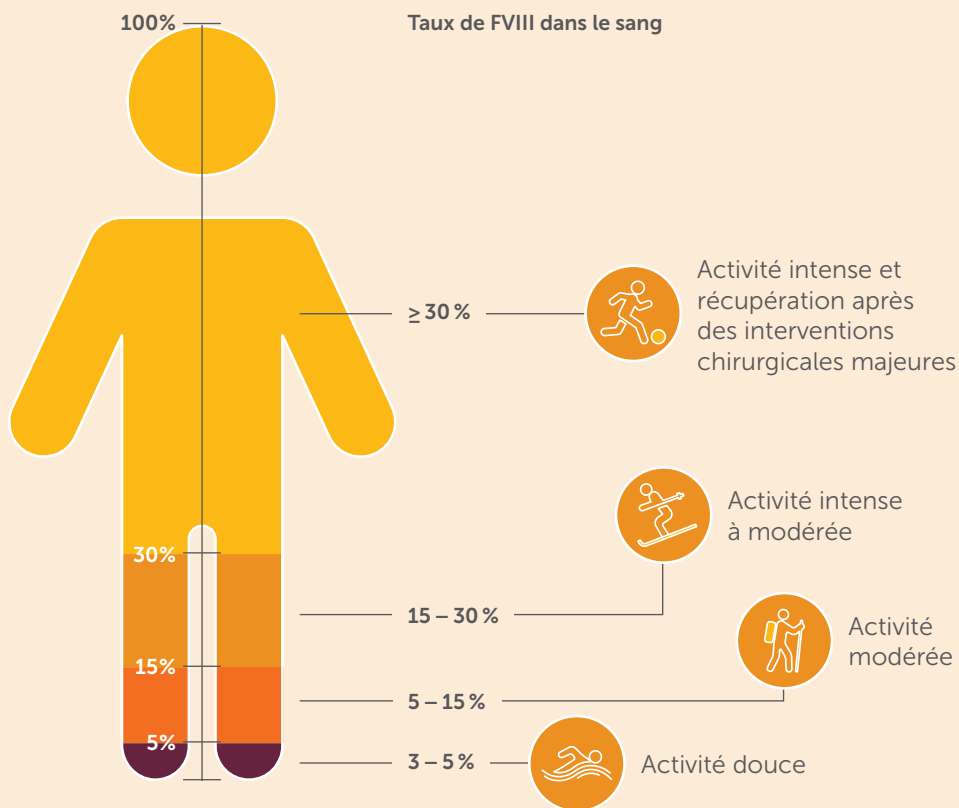
Fonctions avérées du FVIII

Possibilité de maladies et de processus supplémentaires pouvant être influencés par l'hémophilie et le FVIII^a

^a Recherche en cours, la fonction régulatrice claire du FVIII doit encore être définie. Samuelson Bannow B et al. Factor VIII: Long-established role in haemophilia A and emerging evidence beyond haemostasis. Blood Rev. 2019 May;35:43 – 50.

La thérapie par FVIII – pour tous les âges et sur mesure

La substitution de FVIII permet d'atteindre des taux de FVIII situés dans la plage non hémophile (> 40 UI/dl ou > 40 %) pendant un certain temps. Ceci est particulièrement important pour les interventions chirurgicales, les traitements d'hémorragies importantes et les activités physiques intenses.



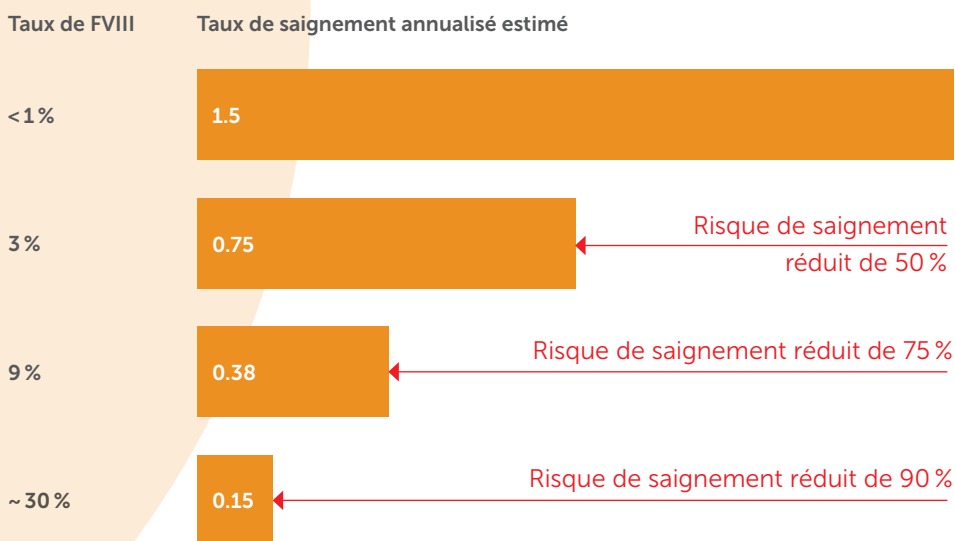
Adapté de Martin A et al., 2020 et NHF, 2017.

Il convient de viser des taux de facteurs plus élevés avec l'augmentation de l'activité physique ou en cas de lésions articulaires.

Martin A et al. Understanding minimum and ideal factor levels for participation in physical activities by people with haemophilia: An expert elicitation exercise. *Haemophilia*. 2020;26(4):711–717.
National Hemophilia Foundation (NHF). Playing it safe – Bleeding disorders, Sports and Exercise. 2017.

La thérapie par FVIII – moins de saignements articulaires en cas d'hémophilie A

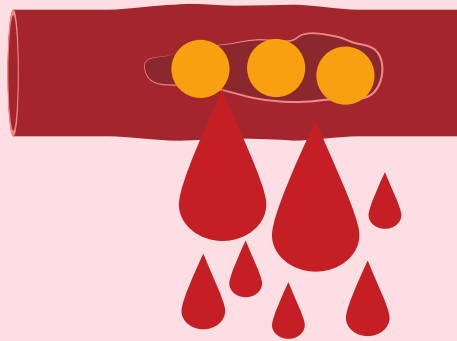
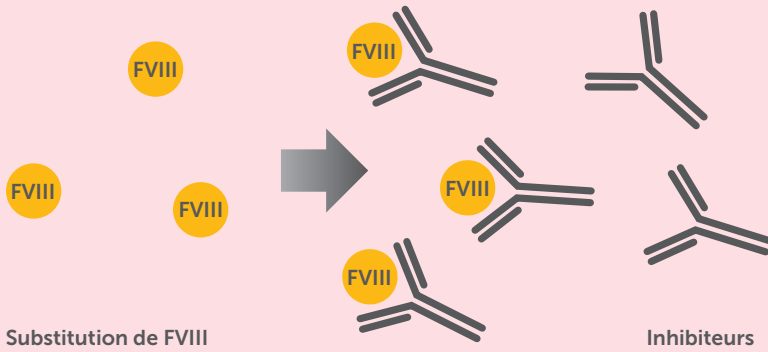
Un taux de facteur plus élevé présente d'autres avantages, par exemple en matière de santé articulaire. En effet, plus le taux de facteur est élevé, plus on se rapproche de la plage non hémophilique (> 40 UI/dl ou > 40 %) et moins il peut y avoir de saignements articulaires, notamment liés aux activités sportives. Le graphique ci-dessous illustre la manière dont le nombre de saignements annuels diminue à mesure que le taux de FVIII augmente.



Adapté de Bukkems LH et al., 2023.

Avec un taux de facteur < 1 %, il faut s'attendre à plus de saignements lors des activités sportives qu'avec un taux résiduel de 30 %, par exemple. En d'autres termes, plus le taux de FVIII est élevé, moins il y a de saignements traumatiques ou spontanés au niveau des articulations ou autres.

Habituer le corps au traitement par FVIII



Les inhibiteurs sont des anticorps dirigés contre le FVIII et produits par le système immunitaire de certains patients atteints d'hémophilie A. Le traitement par FVIII n'est plus efficace en présence d'inhibiteurs et les hémorragies ne peuvent plus être traitées de manière optimale.

La formation d'inhibiteurs représente toujours l'un des plus grands défis dans le traitement de l'hémophilie. Il s'agit d'une réponse immunitaire de l'organisme contre le facteur substitué. La théorie de la discontinuité présentée ci-dessous est une explication possible et tente de décrire ce processus:

Taux de facteur en augmentation lente mais constante



Le facteur est administré graduellement et de manière constante. Le corps a le temps de s'y habituer, et le système immunitaire ne réagit pas ou peu, dans le meilleur des cas. Cela signifie que l'organisme ne développe pas ou peu d'anticorps inhibiteurs contre le FVIII.

Exposition au facteur récurrente et isolée



Le facteur est administré de manière irrégulière à des doses élevées pendant des situations à risque pour le système immunitaire, par exemple à la suite d'une hémorragie interne, d'une intervention chirurgicale ou d'une infection. Le taux de facteur tombe ensuite si bas (< 1 UI/dl ou < 1%) qu'il n'est plus présent dans l'organisme. Lors de la prochaine substitution de facteur, le système immunitaire pourrait réagir et former des inhibiteurs.

Donc, si le facteur n'est administré qu'à intervalles irréguliers et à hautes doses, par exemple lors d'interventions chirurgicales ou d'hémorragies, cela pourrait éventuellement favoriser la formation d'inhibiteurs.

Si vous avez des questions ou des doutes, adressez-vous à tout moment à votre équipe soignante.

Centres d'hémophilie

Vous trouverez les adresses des centres de traitement en Suisse spécialisés dans les troubles de la coagulation sanguine sur:



La présente brochure a été réalisée en collaboration avec l'Hôpital pour enfants de Zurich – Fondation Eléonore.



**Das Spital der
Eleonorenstiftung**

SOBI est une marque de Swedish Orphan Biovitrum (publ).
© 2024 Swedish Orphan Biovitrum AB (publ). Tous droits réservés.



Swedish Orphan Biovitrum AG

Riehenring 182, 4058 Bâle, Tél. +41 41 220 24 40
mail.ch@sobi.com, www.sobi.com/switzerland