

Vieillir avec la thalassémie, paroles de patients

Dr Dora BACHIR

UMGGR-Hôpital Henri Mondor



RE SANTÉ MALADIES RARES

Vieillir avec la thalassémie 03.05.19



Introduction

**Progrès constants au cours de ces
30 dernières années dans les
traitements des □ thalassémies**

Les transfusions

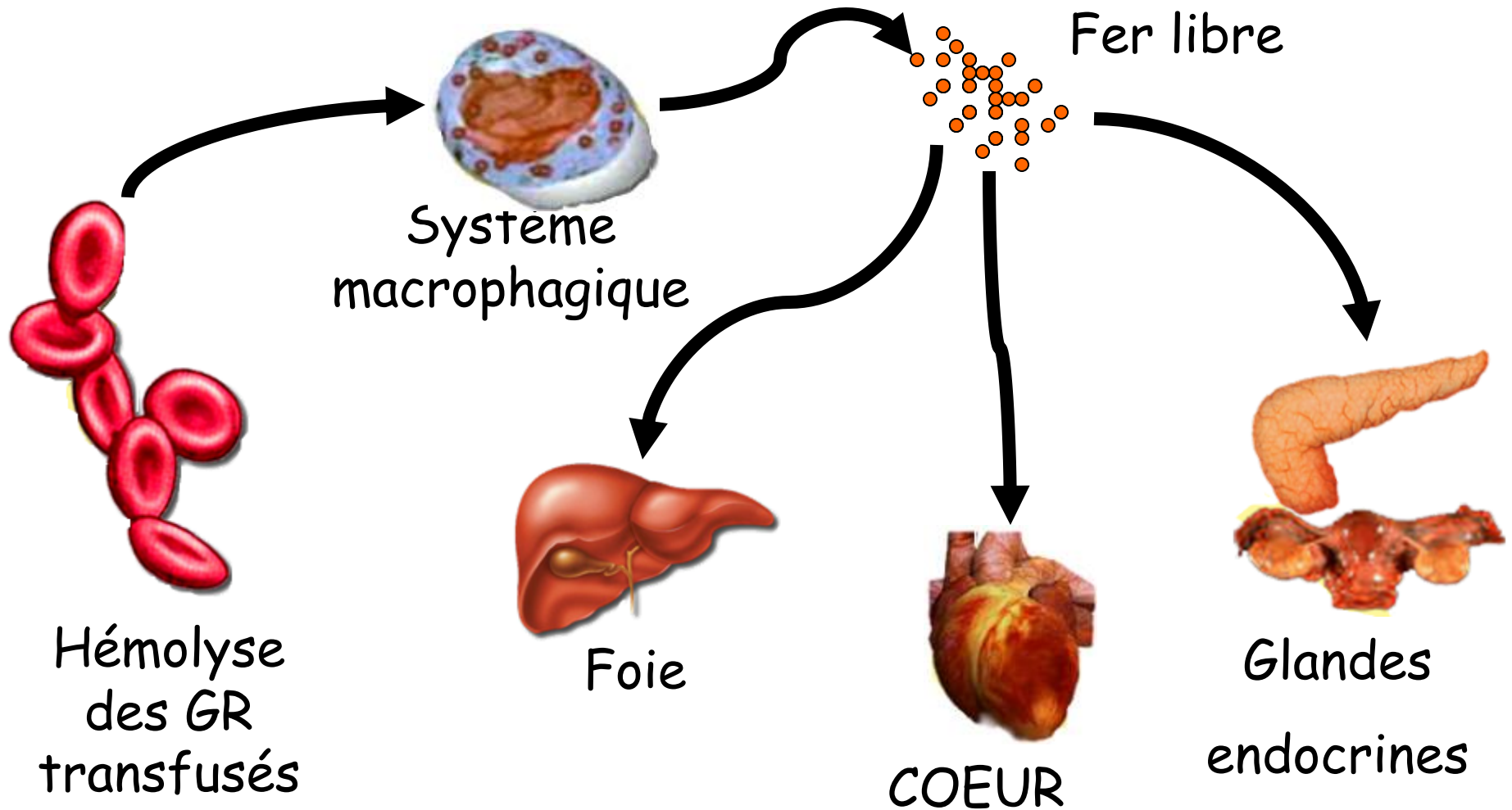
EVOLUTION DE LA MORTALITE

- Décès avant 5 ans par anémie en l'absence de TF.....*régime transfusionnel au long cours*
- Décès par atteinte cardiaque liée à la surcharge en fer à l'adolescence en l'absence de chélation*association précoce du traitement chélateur du fer par déféroxamine aux TF*
- Espérance de vie estimée à 50 ans, principalement dépendante des atteintes d'organes liées à la surcharge tissulaire en fer et donc de la qualité du, et de l'observance au traitement chélateur.....*nouveaux chélateurs et dépistage des atteintes cardiaques au stade pré-symptomatique*

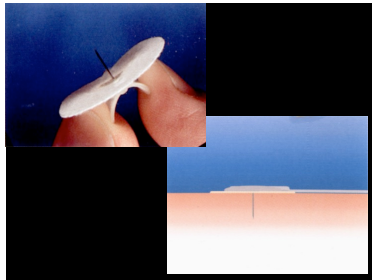
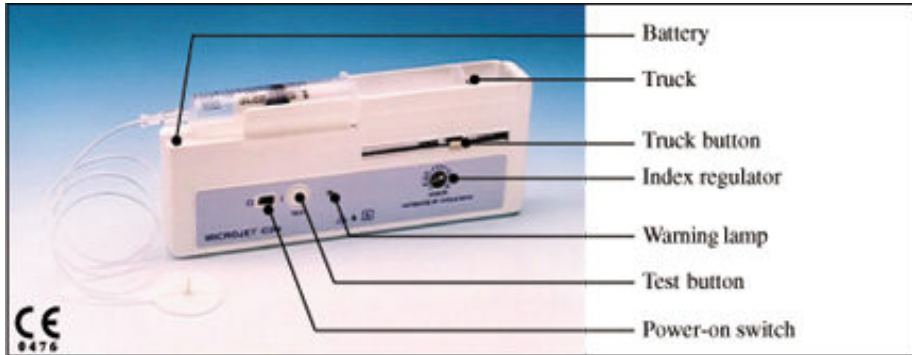
TRAITEMENTS

- **Transfusions**
- Chélation du fer
- Greffe de moelle
- Splénectomie
- Inducteurs de l'Hb F et EPO
- Traitement des atteintes cardiaques, endocriniennes et de l'ostéoporose
- Prévention et traitement des infections

Surcharge en fer



La chélation du fer



Viellir avec la thalassémie 03.05.19

Chélateurs oraux

FERRIPROX AMM restrictive

2000

3 PRISES/JOUR

2007



EXJADE

Une seule prise /jour

Chélateurs oraux

Nouvelle forme pharmaceutique
Comprimés
pelliculés

Bientôt disponible



Comprimés non présentés à leur taille réelle

Exjade[®], plus simplement*

EXJADE[®] est indiqué dans le traitement de la surcharge en fer chronique secondaire à des transfusions sanguines fréquentes (≥ 7 ml/kg/mois de concentrés érythrocytaires) chez les patients de 6 ans et plus qui présentent une β -thalassémie majeure. **EXJADE[®] est aussi indiqué** dans le traitement de la surcharge en fer chronique secondaire à des transfusions sanguines lorsque le traitement par la déféroxamine est contre-indiqué ou inadapté chez les groupes de patients suivants : • Les patients âgés de 2 à 5 ans présentant une β -thalassémie majeure avec une surcharge en fer chronique secondaire à des transfusions sanguines fréquentes (≥ 7 ml/kg/mois de concentrés érythrocytaires). • Les patients âgés de 2 ans et plus présentant une β -thalassémie majeure avec une surcharge en fer chronique nécessitant un traitement chélateur du fer chez les patients de 10 ans et plus présentant des syndromes thalassémiques non dépendants des transfusions, lorsque le traitement par déféroxamine est contre-indiqué ou inadapté⁽¹⁾. AMM pour EXJADE[®] comprimés pelliculés obtenue le 22/03/2016.

Médicament non remboursé et non agréé aux collectivités en date de ce jour (demande d'admission à l'étude).

* Mode d'administration simplifié par rapport à la forme d'EXJADE[®] en comprimés dispersibles ; pour plus d'informations, se référer au RCP.

(1) Résumé des caractéristiques produit.

▼ Ce médicament fait l'objet d'une surveillance supplémentaire qui permettra l'identification rapide de nouvelles informations relatives à la sécurité.

Les mentions légales sont disponibles sur la base de données publique des médicaments
<http://base-donnees-publique.medicaments.gouv.fr/>.

NOVARTIS

EXJADE[®]
(deferasirox) COMPRIMÉS
PELLICULÉS
90 mg - 360 mg

2017
Comprimés pelliculés
90/ 360mg

03.05.19

Objectifs de cette présentation

**Aperçu du quotidien des patients
dépendant des transfusions de plus
de 40 ans**

Patients et méthodes

Patients suivis à Mondor : 4

1 patiente F de 60 ans

3 patients H 54, 46, 44 ans

1 patiente F de 56 ans suivie à Necker

Interview sur le mode bilan éducatif partagé
(entretien d'environ une heure)

Le parcours de ces patients

- Transfusions débutées dans la petite enfance
4/5 avant 5 ans et actuellement plus de 10/an
- Splénectomie (ablation de la rate) 5/5 à différents âges
- Ont tous connu le traitement par Desféral®
- Hépatite C 3/5 ; une patiente greffe hépatique pour cirrhose compliquée d'HC il y a 10 ans

Le parcours de ces patients

-Exil forcé pour certains parents (risque vital dans le pays d'origine) tôt; séparation des parents parfois.

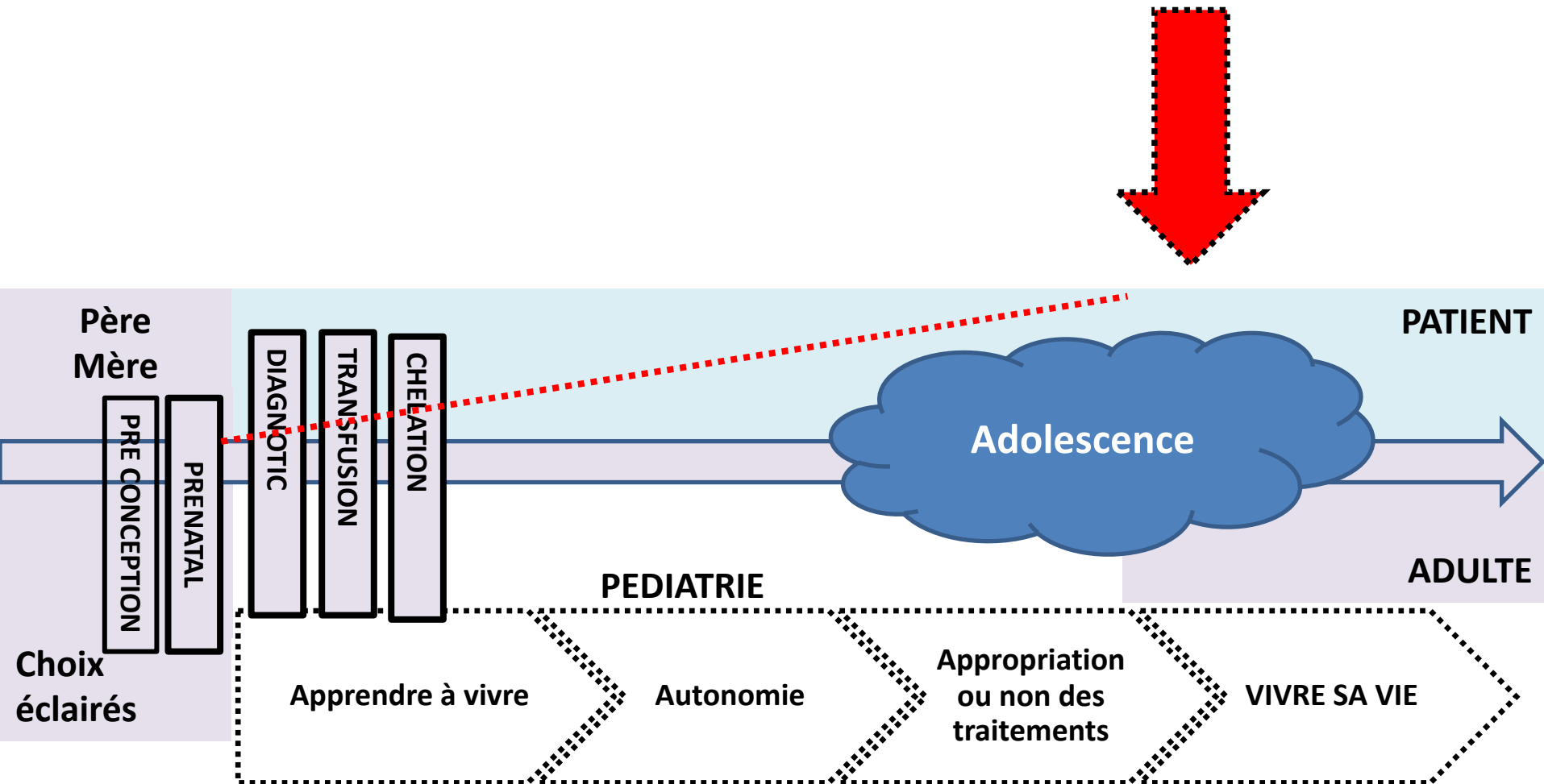
-Adolescence compliquée pour l'observance au Desféral

« je dupais mes parents »... A 54 ans

Chélation bâclée C 56 ans

-Passage en secteur adulte souvent tard après 20 ans

Parcours de soins dans la β thalassémie dépendante des transfusions



Surcharge en fer

- IRM cardiaque 2007: 1 patient avec T_2^* à 6ms , intensification difficile « rébellion, colère »
- diabète insulino-dépendant 1/5
- Autres atteintes endocrines : thyroïde, hypogonadisme...
- Paternité 1/3 (1 enfant de 20 ans)
- Maternité 1/2 (2 enfants 35 et 30 ans) 1petite fille de 2 ans.

C 56 ans « J'ai le sentiment d'avoir été cobaye , avec des traitements potentiellement dangereux finalement j'ai renoncé à avoir un enfant »

Quel est leur état de santé du point de vue médical ?

- Transfusions toutes les 4-5 semaines Hb pré transfusionnelle 8-10g
- Surcharge en fer parfaitement contrôlée
3/5 avec Exjade 2/5 ; Ferriprox 2/5 ;
nécessité de reprise du Desféral 1/5
- tous T_2^* cardiaque normal
- Suivi multidisciplinaire, complexe,
nécessaire coordination ; poly médicaments,
risque d'interactions médicamenteuses

Symptôme prédominant : la fatigue



Gérer la fatigue au quotidien

A 54 ans

Au travail , on sait que je suis diabétique , la thalassémie je n'en parle pas ...c'est invisible ... je ne dis pas que je suis fatigué ; j'essaie de respecter le travail en équipe (horaires variables , parfois missions jusqu'à 3 h du matin...) sinon je serai mis au placard.

J'ai le statut de travailleur handicapé mais chaque fois qu'il y a des choses que je ne peux pas faire , mon chef oublie ... il faut que je le lui rappelle ; je travaille à 2/3 temps depuis 2 ans , cela me permet de gérer mes nombreux rendez-vous médicaux. J'envisage la retraite anticipée à 55 ans.

A la maison, si je ne me sens pas la force de faire quelque chose , je reporte à un autre jour ... je prends du temps pour moi ...

Gérer la fatigue au quotidien

Il faut savoir décrocher ...j'ai plein de passe temps qui ne requièrent pas d'efforts physiques: musique , littérature , s'occuper de la maison . C 56 ans

Je m'adapte : la semaine qui précède la transfusion , je ne programme pas de sorties, je limite mes activités (A photographe) .

2^{ème} symptôme : les douleurs



Mécanismes des douleurs osseuses

- Ostéoporose : risque de fractures, tassements vertébraux;arthroses précoces
- Hématopoïèse extra-médullaire masses de moelle osseuse ectopique entraînant des compressions de nerfs / d'organes
- crises de goutte
- arthrites inflammatoires (cryoglobuline avec l'hépatite C) ou autre mécanisme
- (Ferriprox)

Douleurs osseuses

- Concerne 4/5 patients interrogés ; parfois depuis plus de 20 ans ; fracture du col du fémur 1 patiente (prothèse); tassement vertébral 1 patiente ; douleurs des chevilles(1 patient); station debout pénible pour tous ces patients concernés
- Gestion des antalgiques par le patient ; alternatives non médicamenteuses
- Kinésithérapie, activité physique adaptée bénéfique(*il faut bouger*)

Autres complications rencontrées

- Thromboses veineuses avec risque d'embolie pulmonaire 1 patient traitement anticoagulant souvent à vie
« Ces derniers 3 mois, avec l'embolie pulmonaire, j'ai pris un abonnement à l'hôpital tous les 8-15 jours »
- hypertension artérielle pulmonaire
- problèmes dentaires : parodontopathies, foyers infectieux à traiter avant mise en route des traitements pour l'ostéoporose
- autres: cataracte précoce, hypoacusies

Activité sociale et professionnelle

-5/5 travaillent , la patiente de 60 ans
était secrétaire dans l'entreprise de son
mari décédé il y a 3 mois

-Pour ces patients prendre soin aussi de
leurs parents âgés de plus de 70 ans a
compté et compte beaucoup ...

Conclusion (1)

- Analyse préliminaire qui mérite d'être poursuivie de façon plus ordonnée
- Ces patients nous donnent des « leçons de vie » réussies malgré les contraintes de la maladie et des traitements
- capacité admirable à structurer leur agenda de suivi et traitements ,à relativiser , aller à l'essentiel
- Le contrôle de la surcharge en fer est possible !!!

Conclusion (2)

- Adaptation , leviers de motivation familiaux , professionnels , loisirs même si tout ce qui concerne la thalassémie revient très vite
- Non éligibles aux nouveaux traitements mais heureux de témoigner comme « passeurs d'expériences »

Conclusion (3)

Importance

- de libérer la parole et de valoriser l'expérience de ces patients
- de les accompagner dans la recherche de ressources pour améliorer leur qualité de vie
- De les faire participer aux avancées thérapeutique

Messages pour les patients plus jeunes

Ménage toi car personne ne te ménagera ...

Prends soin de toi

Relativise , va à l'essentiel , il y a toujours des solutions

Avec les chélateurs oraux aucune excuse à ne pas les prendre

Ce n'est pas la fin du monde

Fais alliance avec les docteurs, sois réactif

La thalassémie , on n'en meurt pas...

Merci de votre attention

Grand merci à Maria, Christine , Ali, Angelo Fayçal....

