

# Réseau FranceCoag : cohorte française des patients atteints d'une maladie hémorragique héréditaire

## Le point en 2011

Nous remercions vivement chaque participant, patient ou professionnel, au projet du Réseau FranceCoag, sans lesquels les résultats présentés ici n'auraient pu être rapportés.

Les hémophilies A et B, la maladie de Willebrand et les autres maladies hémorragiques dues à une forme sévère d'un déficit héréditaire en protéines coagulantes (DHPC) sont des maladies rares. Ces pathologies qui partagent un certain nombre de manifestations hémorragiques ont des parcours de soins proches. La sévérité de ces déficits, définie par des critères biologiques, est le déterminant majeur du syndrome hémorragique et de la fréquence de recours aux soins.

Le Réseau FranceCoag (RFC) est un dispositif basé sur un suivi national de cohorte visant à enregistrer des informations concernant les patients porteurs d'hémophilie, les formes les plus graves de maladie de Willebrand ainsi que les personnes atteintes d'un déficit sévère en fibrinogène (afibrinogénémie), II, V, V+VIII, VII, X, XI, XIII. Il ne concerne donc pas les anomalies plaquettaires. Le projet RFC a été précédé par le Suivi thérapeutique national des hémophiles (SNH), qui avait été débuté en 1994 dans un objectif prioritaire de veille sanitaire.

Les **maladies rares** sont définies par une fréquence inférieure à une personne sur 2 000 soit moins de 30 000 cas en France.

Cette plaquette d'information a pour objectif de présenter l'état d'avancement du Réseau en 2011 et les principaux résultats obtenus à ce jour.

Vous trouverez des informations complémentaires sur le site Internet du Réseau FranceCoag : [www.francecoag.org](http://www.francecoag.org).

## CHIFFRES CLÉS (FIN 2010)

- **36** centres de traitement de l'hémophilie (CTH) participent au projet.
- **7 001** patients ont été enregistrés dans la cohorte depuis 1994 dont 4 527 atteints d'une hémophilie A, 996 d'une hémophilie B, 1 138 d'une maladie de Willebrand et 340 d'un autre DHPC.
- **38** garçons atteints d'hémophilie A ou B sévère naissent chaque année en France en moyenne.
- Les DHPC (hors hémophilie et maladie de Willebrand) enregistrés depuis 2003 dans le RFC sont extrêmement rares. Ils ne représentent que **5 %** de la cohorte (n=340).
- Au total, ce sont les données issues de plus de **30 000 visites** qui ont été enregistrées.
- Un peu plus de **2 400 patients** ont eu un prélèvement sanguin depuis 1994 dans le cadre de la biothèque FranceCoag permettant la cryoconservation de plus de 57 000 échantillons.






### Quels sont les objectifs du Réseau ?

- 1) Recenser de manière exhaustive et décrire les personnes atteintes de DHPC suivies dans les CTH.
- 2) Disposer d'un outil de veille sanitaire en cas de suspicion de transmission d'un nouvel agent par les traitements (conservation d'échantillons sanguins).

### Chez les enfants atteints d'hémophilie sévère (sous-cohorte PUPS – Previously Untreated Patients):

- 3) étudier les facteurs de risque d'inhibiteurs et leurs modalités de traitement;
- 4) évaluer les pratiques et l'impact de la prophylaxie.

Un **inhibiteur** est un anticorps dirigé contre le facteur de coagulation administré dans le cadre du traitement du déficit du patient.

### Qui coordonne le Réseau ?

Le Réseau FranceCoag, mis en place en 2003 à la suite du SNH à la demande du ministère de la Santé, est entièrement financé par les pouvoirs publics.

La coordination du Réseau est assurée depuis janvier 2004 par l'Institut de veille sanitaire (InVS), en relai de l'Inserm. La coordination se fait en collaboration avec un Comité d'orientation (CO), composé de représentants des cliniciens des CTH désignés par le bureau de la Coordination médicale pour l'étude et le traitement des maladies hémorragiques constitutionnelles (CoMETH), des Centres de référence (hémophilie et déficits rares, maladie de Willebrand), de diverses institutions sanitaires et de l'Association française des hémophiles.

Le centre coordinateur de l'InVS est aidé par des attachés de recherche clinique régionaux chargés, entre autres, de la qualité des données transmises.

### Quels patients peuvent être inclus dans la cohorte générale ?

Les patients atteints :

- d'une hémophilie A ou B avec un taux de facteur VIII (FVIII) ou facteur (FIX) <30 % ;
- d'une maladie de Willebrand (MW) de type 1 avec VWF:Ag<30 %, de type 2 avec un rapport VWF:RCo/VWF:Ag<0,7 ou VWF:CB/VWF:Ag<0,7 ou FVIII:C/VWF:Ag<0,5 ou de type 3 ;
- d'une afibrinogénémie (fibrinogène <0,1 g/l) ;
- d'un déficit en facteur FII, FV, FVII, FX, FXIII <10 %, en FXI <20 % ou en FV+FVIII <30 %.

### Quels patients peuvent être inclus dans la sous-cohorte PUPS ?

La sous-cohorte PUPS est nichée au sein de la cohorte générale. Elle inclut les enfants porteurs d'hémophilie A ou B ayant un taux basal du facteur déficitaire <2 % pour lesquels le recueil d'informations retrace de manière fiable le traitement substitutif dès son début. Les critères d'inclusion ont varié depuis 1994 ([www.francecoag.org/SiteWebPublic/public/DocumentsTele.action](http://www.francecoag.org/SiteWebPublic/public/DocumentsTele.action)) pour aboutir à l'inclusion de tous les enfants éligibles nés après le 01/01/2000 et pour lesquels il est possible de retracer l'histoire thérapeutique.

Le recueil de données est plus complet et plus large que celui effectué pour la cohorte générale avec notamment le renseignement de l'origine ethnique, de l'anomalie génétique et de données détaillées concernant les régimes thérapeutiques de tolérance immunitaire et de prophylaxie. Une note d'information spécifique doit être remise à tout nouveau patient inclus dans la sous-cohorte PUPS.

La **tolérance immunitaire** est l'administration par voie intraveineuse des concentrés de facteur VIII (ou IX), de façon régulière, dans l'intention d'éradiquer un inhibiteur.

La **prophylaxie** est une démarche thérapeutique visant à prévenir la survenue d'accidents hémorragiques spontanés par des injections régulières, systématiques et programmées de produit de substitution.

### Comment se passent les inclusions et le suivi des patients ?

L'inclusion dans le RFC se réalise lors d'une consultation habituelle au CTH après remise d'une note d'information décrivant les objectifs du RFC et son mode général de fonctionnement. Les informations synthétisant les antécédents et les principaux événements survenus pendant l'année écoulée (traitement, chirurgie, hémorragie, infection...) sont transmises après validation par le médecin *via* un site Internet hautement sécurisé.

Le suivi dans le RFC se réalise dans le cadre des soins habituels, à un rythme au mieux annuel. Dans la sous-cohorte PUPS, le rythme de suivi est habituellement trimestriel jusqu'à 150 journées cumulées de présence de l'antigène puis annuel. À l'âge de 18 ans, les patients rejoignent la cohorte générale.

Les **journées cumulées de présence de l'antigène** correspondent aux journées cumulées de traitement par préparations de facteur VIII ou IX.

La **confidentialité des données** est assurée par un numéro d'anonymat à 7 chiffres attribué par le médecin. Aucune donnée nominative (nom, prénom, initiales...) n'est transmise à l'InVS. Ce projet a reçu une autorisation de la Commission nationale de l'informatique et des libertés (Cnil).

## Quelles ont été les évolutions lors du passage au nouveau système d'information "V2" ?

Depuis fin 2009, plusieurs informations en rapport avec la prise en charge du patient ont été ajoutées (comorbidités et effets indésirables graves, traçabilité des lots de FVIII et FIX impactés par le variant de la maladie de Creutzfeldt Jakob, évolution et prise en charge des patients infectés par le VHC,...). Les conditions de sécurité de transmissions des données ont été renforcées (utilisation d'une carte de professionnels de santé dite CPS). La note d'information, actualisée en avril 2010,

doit être remise à tous les patients pour les informer de ces changements ([www.francecoag.org/SiteWebPublic/public/DocumentsTele.action](http://www.francecoag.org/SiteWebPublic/public/DocumentsTele.action)).

Le nouveau système informatique "V2" permet aussi aux cliniciens d'accéder à des données enregistrées dans le RFC. La carte CPS est indispensable pour ces requêtes, accessibles par le lien "Statistiques" du menu "Partenaire". Chaque centre peut accéder aux données de son centre ou à des données agrégées nationales. Il s'agit d'analyses prédéfinies dont la liste est présentée ci-dessous.

**Menu principal**

- Accueil
- Documents utiles
- Foire aux Questions (FAQ)
- Liens
- Statistiques nationales
- Centres participants
- Centre coordinateur
- Comité d'orientation
- Droits des utilisateurs
- Lexique

**Menu partenaire**

- Accueil
- Documents utiles
- Partenaires
- Annuaire
- Télétransmission
- **Statistiques**
- Gestion de RFC
- Export des données

**Statistiques - Analyses prédéfinies**

Cochez les analyses souhaitées puis cliquez sur VALIDER.

- Présentation générale de la cohorte
- Nombre de patients actuellement suivis dans le Réseau FranceCoag
- Nombre de patients actuellement suivis dans la Sous-cohorte Pups
- Données démographiques (âge/sexe) - Hémophilie
- Données démographiques (âge/sexe) - Sous-cohorte Pups
- Données démographiques (âge/sexe) - Maladie de Willebrand et autres déficits héréditaires en protéines coagulantes (DHPC)
- Nombre de patients inclus contaminés par le VIH ou le virus de l'hépatite C (VHC)
- Décès enregistrés (nombre et âge médian)
- Caractéristiques des traitements - Hémophilie
- Caractéristiques des traitements - Sous-cohorte Pups
- Caractéristiques des traitements - Maladie de Willebrand et autres déficits héréditaires en protéines coagulantes (DHPC)
- Caractéristiques cliniques et biologiques - Hémophilie
- Caractéristiques cliniques et biologiques - Sous-cohorte Pups
- Caractéristiques cliniques et biologiques - Maladie de Willebrand et autres déficits héréditaires en protéines coagulantes (DHPC)
- Caractéristiques génétiques - Hémophilie
- Comorbidités - Hémophilie

Des analyses à la demande peuvent être également réalisées en croisant les variables de la liste ci-dessous.

**Statistiques - Analyse à la demande**

Choisissez une variable N°1 (colonne) :

Choisissez une variable N°2 (ligne) :

Si nécessaire, veuillez rentrer une variable N°3 (ligne) :

Non précisé  
Année de naissance  
Déficit principal  
Sévérité de l'hémophilie  
Année de diagnostic  
Circonstance de diagnostic  
Mutation génétique connue  
Sexe  
Antécédent d'injection de traitement substitutif (TS) aux dernières nouvelles  
Département de résidence aux dernières nouvelles  
Arrêt définitif  
Classe dans laquelle est l'enfant aux dernières nouvelles  
Année de suivi  
Régime thérapeutique aux dernières nouvelles  
Comorbidités

En cas de problème, merci de contacter le CC.

## DESCRIPTION DE LA POPULATION

Vous pouvez retrouver toutes les données présentées dans cette section sur [www.francecoag.org](http://www.francecoag.org). Elles y sont actualisées régulièrement.

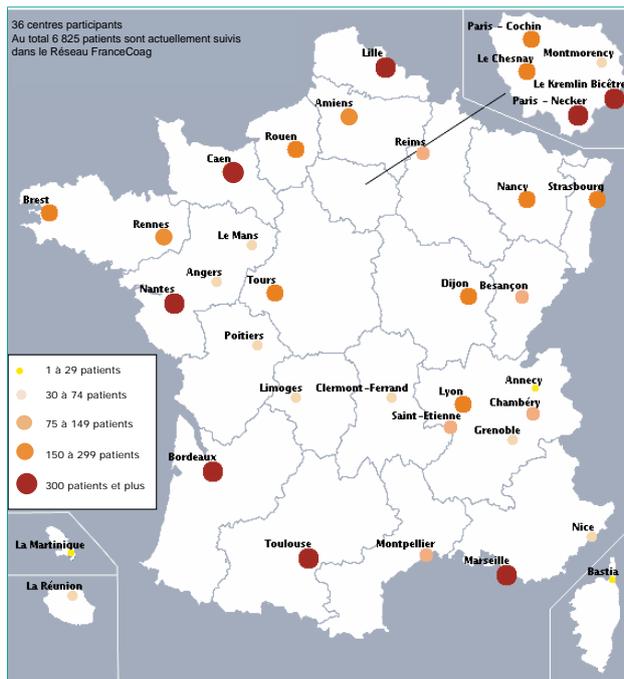
### Combien de patients sont enregistrés ?

Fin 2010, 7 001 patients étaient inclus dans le RFC et plus de 30 000 formulaires de visite avaient été transmis. Au cours de l'année 2009, 46 nouveaux patients ont été inclus en moyenne chaque mois.

À l'heure actuelle, on estime que la majorité des patients atteints d'hémophilie vivant en France métropolitaine participe au projet et que les inclusions sont proches de l'exhaustivité pour la population atteinte d'une forme sévère d'hémophilie.

#### | CARTE 1 |

### Nombre de patients actuellement suivis dans le Réseau FranceCoag



Sources : Réseau FranceCoag, Institut de veille sanitaire (France).

Mise à jour le 23/11/2010.

NB : Il s'agit de la répartition géographique des patients non décédés et non perdus de vue à la date de la réactualisation des données et pour lesquels au moins un formulaire a été enregistré.

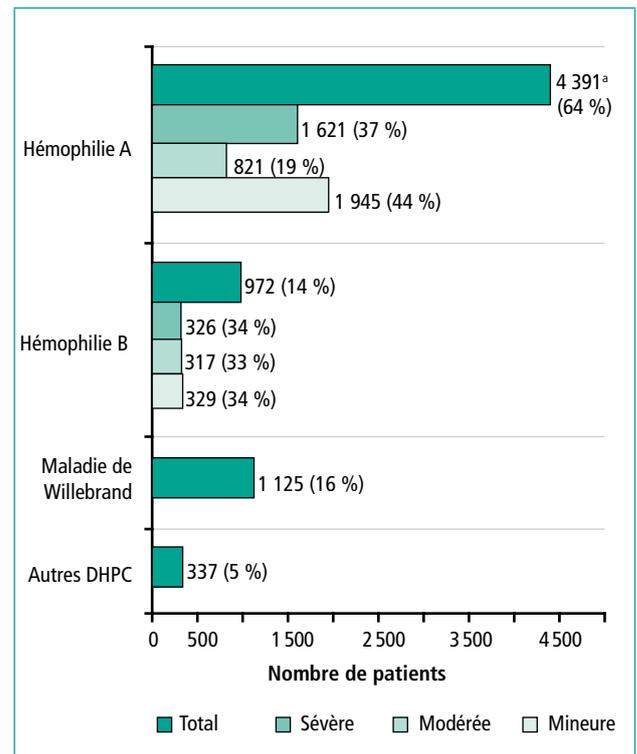
Les analyses présentées ci-dessous ont été réalisées sur les 6 825 patients suivis à ce jour dans le RFC (hors décédés et perdus de vue) par les 36 CTH métropolitains ou d'outre-mer, soit un total de 34 000 personnes-années.

## Quelles sont leurs caractéristiques ?

La grande majorité des patients inclus (5 363) est atteinte d'hémophilie (hémophilie A : 4 391 ; hémophilie B : 972), 1 125 de maladie de Willebrand et 337 d'un autre DHPC. Le détail des formes d'hémophilie selon la sévérité est représenté dans la figure ci-dessous. Parmi les autres déficits, ceux en FVII et FXI prédominent nettement, alors que d'autres, tels les déficits en prothrombine (FII) et en facteur V+VIII, sont exceptionnels.

#### | FIGURE 1 |

### Répartition des déficits dans la cohorte FranceCoag (n=6 825)



Sources : Réseau FranceCoag, Institut de veille sanitaire (France).

<sup>a</sup> La sévérité est une donnée manquante pour 4 patients.

#### Définition des degrés de sévérité de l'hémophilie :

- sévère : FVIII ou FIX < 1 %
- modérée : 1 - 5 %
- mineure : > 5 % - < 40 %

Au jour de l'analyse, 30 % des patients atteints d'hémophilie ont moins de 18 ans. Le détail des caractéristiques démographiques selon la sévérité est décrit ci-dessous. Les femmes, qu'il s'agisse de conductrices à taux bas ou de porteuses d'une anomalie génétique particulière (hétérozygotes composites notamment), représentent 2 % de la population hémophile et ont pour la plupart un taux de facteur déficitaire supérieur à 5 %.

| TABLEAU 1 |

### Caractéristiques démographiques des patients atteints d'hémophilie

Déficit	Âge <sup>a</sup> (ans)		Sexe (effectif)		Total
	Médiane	Min-max	Homme	Femme	
<b>Hémophilie A</b>	<b>28</b>	<b>0-96</b>	<b>4 310</b>	<b>81</b>	<b>4 391</b>
Sévère	25	0-88	1 615	6	1 621
Modérée	29	0-88	815	6	821
Mineure	31	0-96	1 876	69	1 945
<b>Hémophilie B</b>	<b>27</b>	<b>0-88</b>	<b>939</b>	<b>33</b>	<b>972</b>
Sévère	28	0-86	324	2	326
Modérée	28	1-85	313	4	317
Mineure	26	1-88	302	27	329
<b>Total</b>	<b>28</b>	<b>0-96</b>	<b>5 249</b>	<b>114</b>	<b>5 363</b>

<sup>a</sup> Âge calculé en 2010.

Au jour de l'analyse, 27 % des patients porteurs de la maladie de Willebrand et 30 % des patients porteurs d'un autre déficit plus rare ont moins de 18 ans. Le détail des caractéristiques démographiques est décrit ci-dessous. Les femmes sont

majoritaires à 55 % parmi les patients atteints de maladie de Willebrand ; la répartition hommes/femmes est plus équilibrée pour les autres déficits rares.

| TABLEAU 2 |

### Caractéristiques démographiques des patients atteints d'autres DHPC

Déficit	Âge <sup>a</sup> (ans)		Sexe (effectif)		Total
	Médiane	Min-max	Homme	Femme	
Déficit en FI	25	2-62	16	19	35
Déficit en FII	5	-	1	0	1
Déficit en FV	31	2-70	15	18	33
Déficit en FVIII et FV	42	9-81	5	3	8
Déficit en FVII	24	2-80	49	56	105
Déficit en FX	41	7-86	9	9	18
Déficit en FXI	39	1-84	57	54	111
Déficit en FXIII	20	1-58	15	11	26
<b>Total</b>	<b>30</b>	<b>1-86</b>	<b>167</b>	<b>170</b>	<b>337</b>
Maladie de Willebrand	33	1-87	508	617	1 125

<sup>a</sup> Âge calculé en 2010.

## PRISE EN CHARGE DES PATIENTS

### Diagnostic : comment et quand ?

Le diagnostic de maladie hémorragique est posé suite à une manifestation hémorragique (47 %), en raison d'antécédents familiaux (35 %) ou fortuitement lors d'un bilan d'hémostase systématique (18 %). Ces pourcentages varient toutefois selon le type et la sévérité du déficit : chez les patients atteints d'hémophilie sévère ou modérée, de maladie de Willebrand ou d'un déficit de FX, les trois quarts des diagnostics sont portés suite à un saignement ou en raison d'antécédents familiaux alors que les diagnostics fortuits sont plus courants chez les patients atteints d'hémophilie mineure ou d'un déficit en FXI ou FVII.

De la même façon, l'âge au diagnostic varie selon le déficit. L'âge médian au diagnostic est de 8 mois en cas de forme

sévère d'hémophilie alors qu'il est respectivement de 7 ans, 11 ans, 11 ans et 23 ans en cas de forme mineure d'hémophilie, de maladie de Willebrand, de déficit en FVII et FXI. À noter que pour les enfants atteints d'hémophilie sévère nés depuis 1985, le diagnostic est porté plus tôt (cf. projet "Âge au diagnostic").

### Le traitement

Parmi les 6 825 patients, 76 % ont reçu au moins une fois dans leur vie un traitement substitutif par fraction coagulante.

Chez les patients atteints d'hémophilie, l'âge médian à la 1<sup>re</sup> injection est de 14 mois pour les formes sévères, 5 ans pour les formes modérées et 14 ans pour les formes mineures. Cet âge est proche de 19 ans pour les déficits en FVII, 19 ans pour la maladie de Willebrand et 29 ans pour les déficits en FXI.

Pour les patients revus depuis 2009, 84 % des hémophiles A et 50 % des hémophiles B traités au cours de leur dernier suivi l'ont été par un concentré de facteur antihémophilique d'origine recombinante.

## La prophylaxie

Le pourcentage de patients recevant un traitement prophylactique varie selon le type de déficit. À la dernière visite signalée depuis 2009, il est de 100 % en cas de déficit en FXIII, 59 % en cas d'hémophilie A sévère, 45 % en cas d'hémophilie B sévère, mais 4 % seulement en cas de maladie de Willebrand. Parmi les patients sous prophylaxie, 57 % ont moins de 18 ans, 21 % ont entre 18 et 29 ans et 22 % ont 30 ans ou plus.

L'âge médian de début de la prophylaxie pour les hémophiles sévères est de 1,8 an pour ceux nés entre 2004 et 2007 alors qu'il est de 4 ans pour ceux nés entre 1996-1999. Cette évolution pourrait correspondre à l'application des recommandations de prophylaxie diffusées en France en 2002 par la CoMETH. Un projet financé par le PHRC national est en cours pour analyser plus finement grâce à la sous-cohorte PUPS l'impact de ces recommandations.

## COMPLICATIONS MAJEURES

### Les inhibiteurs

Au cours de leur vie, 476 (11 %) hémophiles A (dont 376 avec une forme sévère) et 17 (2 %) hémophiles B (dont 16 avec

une forme sévère) ont développé un inhibiteur. Un inhibiteur de titre fort (>5UB) a été détecté chez 262 patients atteints d'hémophilie A et 11 patients atteints d'hémophilie B. Un protocole d'induction de tolérance immune (ITI) a été mis en place dans la majorité des cas d'hémophilie A (51 % voire 58 % des cas pour les formes sévères) mais seulement dans 37 % des cas d'hémophilie B.

Aux dernières nouvelles, depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2009, 31 patients ont un titre >5UB, 37 suivent un protocole d'ITI et 76 utilisent des médicaments by-passants, soit 102 patients dont la prise en charge est modifiée du fait de la présence d'un inhibiteur (à noter que les trois groupes ne sont pas exclusifs).

Au cours de l'année 2009, 18 nouveaux inhibiteurs ont été rapportés dont 17 chez des patients atteints d'hémophilie A et 1 parmi les patients atteints d'hémophilie B.

Les **médicaments by-passants** sont des fractions activées capables d'induire la coagulation en l'absence des facteurs anti hémophiliques VIII et IX.

Un groupe de travail mène actuellement deux projets de recherche sur les facteurs de risque des inhibiteurs (cf. "Projets de recherche en cours").

### Les hémorragies graves

Sur une durée médiane de 4 années de suivi dans le RFC, 256 (4 %) patients ont eu au moins une hémorragie du système nerveux central (SNC) ou mettant en jeu leur pronostic vital.

| TABLEAU 3 |

### Les hémorragies graves au cours du suivi dans la RFC

Déficit	Durée médiane du suivi dans le RFC (années)	Nombre de patients ayant eu au moins une hémorragie du système nerveux central		Nombre de patients ayant eu au moins une hémorragie mettant en jeu le pronostic vital (hors SNC)	
		Un épisode	>Un épisode	Un épisode	>Un épisode
Déficit en FVIII	4,8	65	9	97	10
Déficit en FIX	4,3	15	1	17	2
Maladie de Willebrand	2,0	3	1	3	1
Autres DHPC	2,0	6	1	15	11
<b>Total</b>	<b>4,0</b>	<b>89</b>	<b>12</b>	<b>132</b>	<b>24</b>

NB: 1 seul patient a eu à la fois une hémorragie du SNC et une hémorragie hors SNC mettant en jeu le pronostic vital.

### La chirurgie orthopédique

Seules les interventions survenues au cours du suivi dans le RFC sont enregistrées. On recense 428 gestes de chirurgie orthopédique de type arthroplastie (n=345) ou arthrodèse (n=83). Les articulations concernées sont les genoux (53 %),

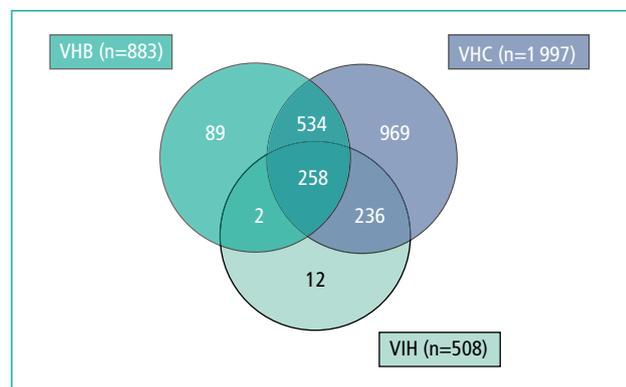
les chevilles (22 %), les hanches (17 %), les coudes (5 %) ou une autre articulation (3 %). Au total, 312 patients (5 %), essentiellement des patients atteints de forme sévère d'hémophilie nés entre 1960-1980, ont eu au moins une arthroplastie ou une arthrodèse au cours de leur suivi.

## Les infections virales

Parmi les 7 001 patients inclus, 2 100 (30 %) ont été infectés par les virus de l'hépatite C (VHC), de l'hépatite B (VHB) ou par le VIH (voir le détail des associations dans la figure). Les informations nouvellement collectées dans le cadre du nouveau système informatique "V2" permettront de décrire l'évolution de l'hépatite C, notamment en termes de fréquence des formes chroniques et de réponse au traitement.

| FIGURE 2 |

### Répartition des infections virales parmi les patients inclus dans le RFC



## Les décès

À ce jour, 171 décès ont été déclarés dans le RFC. L'analyse des causes de décès montre que 39 décès sont dus au virus de l'hépatite C (dont 17 hépatocarcinomes), 29 à une hémorragie, 31 à un cancer (non lié au VHC ou au VIH), 16 au sida et 56 à une autre cause. Le nombre de décès est très certainement sous estimé car les centres ne sont pas systématiquement informés des décès survenus en dehors de leur établissement hospitalier. Il est donc nécessaire que chacun des centres essaie de connaître le statut vital des patients non revus depuis plusieurs années.

Il est rappelé qu'il est réglementairement possible de demander aux communes de naissance (renseignées par la connaissance du numéro de sécurité sociale) le statut vivant ou décédé des personnes.

## ENFANTS HÉMOPHILES SÉVÈRES : PUPS

| TABLEAU 4 |

### Caractéristiques des enfants Pups suivis dans le RFC

	Hémophilie A	Hémophilie B
	n (%) ou mois	n (%) ou mois
Nombre de patients actuellement suivis	412	71
Âge médian au diagnostic	4 mois	8 mois
Parmi les patients ayant été traités au moins une fois	387 (94)	65 (92)
Âge médian à la 1 <sup>re</sup> injection de facteur	10 mois	13 mois
Patients ayant reçu au moins une fois des facteurs recombinants	332 (86)	35 (55)
Patients ayant reçu au moins une fois des facteurs plasmatiques	119 (31)	39 (61)
Patients mis au moins une fois sous prophylaxie	292 (75)	43 (66)
Patients ayant eu un inhibiteur	108 (28)	1
Dont patients traités au moins une fois en régime d'induction de tolérance immune	83 (77)	-
Patients ayant eu au moins une hémorragie grave	30 (7)	4 (6)
Patients ayant eu au moins une hémarthrose	292 (71)	45 (63)
Nombre de nouvelles infections déclarées	0	0

## LA BIOTHÈQUE

Il s'agit de collecter et de conserver des échantillons du sang de patients participant au RFC et ayant préalablement donné leur accord pour ce prélèvement. La constitution de cette biothèque a reçu un avis favorable du Comité de protection des personnes (CPP – Ile-de-France IX) en juillet 2009 et a été déclarée au ministère de la Recherche.

Les échantillons sont prioritairement destinés à l'investigation rapide de toute suspicion de transmission par des concentrés de facteurs de coagulation d'un agent nouvellement identifiable (Cf. l'objectif n° 2 du RFC). Une partie de ces échantillons pourrait également être utilisée, après accord du Comité d'orientation, pour mener des projets de recherche, y compris génétiques, destinés à mieux connaître les pathologies ou à améliorer leur prise en charge. Ainsi, la biothèque a déjà permis de mener une étude sur les facteurs génétiques susceptibles d'être impliqués dans le saignement plus ou moins important des patients hémophiles.

La collecte de sang est proposée environ tous les 2 ans aux patients suivis en consultation dans 12 des 36 CTH participant au projet. Les 12 CTH sélectionnés suivent près de 70 % des patients de la cohorte FranceCoag et sont jugés représentatifs de l'ensemble de la cohorte. Un tube supplémentaire de 8,5 ml (ou de 6 ml chez les jeunes enfants) est prélevé lors du bilan habituel des patients. Ce tube est envoyé dans une biobanque qui stocke et conserve des échantillons de plasma et de cellules mononucléées congelés.

À ce jour, 2 406 patients ont été prélevés dans le cadre de cette biothèque et plus de 34 500 paillettes de plasma et 22 500 paillettes de cellules sont conservées.

## PROJETS DE RECHERCHE EN COURS

Les projets actuels concernent tous l'hémophilie. Les premiers résultats ont fait l'objet de présentations (posters) lors des congrès mondiaux de l'hémophilie (WFH) ([www.francecoag.org/SiteWebPublic/public/wfh.action](http://www.francecoag.org/SiteWebPublic/public/wfh.action)).

### Projet "Âge au diagnostic" (WFH 2010)

Étude des facteurs influençant l'âge au diagnostic des patients atteints d'hémophilie A ou B.

### Projet "Prophylaxie" (WFH 2008)

Évaluation de l'impact des recommandations nationales de prophylaxie pour les enfants hémophiles A ou B sévères.

### Projets "Inhibiteur" (WFH 2010)

Étude des facteurs de risque d'inhibiteur chez les enfants atteints d'hémophilie A sévère (FVIII < 2 %).

Étude des facteurs de risque d'inhibiteur chez les hémophiles (essentiellement les A) modérés et mineurs (FVIII > 1 %).

### Projet "Qualité de vie" (WFH 2010)

Description de la qualité de vie des patients atteints d'hémophilie A ou B sévère ou modérée.

Vous pouvez également consulter les données du Réseau FranceCoag présentées dans différents congrès sur le site Internet à l'adresse suivante : [www.francecoag.org/SiteWebPublic/public/DocumentsTele.action](http://www.francecoag.org/SiteWebPublic/public/DocumentsTele.action).

## COMITÉ D'ORIENTATION DU RÉSEAU FRANCECOAG EN 2011

Médecins des Centres de traitement de l'hémophilie

Christine Biron-Andréani, Roseline D'Oiron, Philippe Gautier, Benoît Guillet, Sandrine Meunier, Jocelyne Peynet, Chantal Rothschild, Fabienne Volot

Centre de référence hémophilie

Hervé Chambost

Centre de référence maladie de Willebrand

Jenny Goudemand (présidente)

Centre coordinateur

Alexandra Doncarli, Virginie Demiguel, Florence Suzan

DGOS

Dominique Martin

Inserm-UPMC/UMR-S 943

Dominique Costagliola, Thierry Calvez

Afssaps

Peggy Chocarne

Pharmaciens hospitaliers

Isabelle Lopez

Réseau génostase

Catherine Costa

Usagers du système de santé

Norbert Ferré, Edmond-Luc Henry

Attachés de recherche clinique en région

Bouchta Arab, Vanessa Milien, Antoine Rosay

**Mots clés :** hémophilie, cohorte, réseau surveillance, recueil données, maladie de Willebrand, déficit en facteur de la coagulation, France

Citation suggérée :

Réseau FranceCoag : cohorte française des patients atteints d'une maladie hémorragique héréditaire – Le point en 2011. Saint-Maurice: Institut de veille sanitaire; 2011. 8 p. Disponible à partir de l'URL : <http://www.invs.sante.fr>