

AAMAC
ACAAM

Aplastic Anemia & Myelodysplasia
Association of Canada

Association canadienne de l'anémie
aplasique et de la myélodysplasie



**Série éducative
de l'ACAAM**
Anémie aplasique (AA)

L'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM) est un organisme à but non lucratif national constitué et enregistré en vertu d'une loi fédérale et guidé par les membres bénévoles dévoués de son conseil d'administration et une équipe de conseillers médicaux distingués provenant des quatre coins du Canada. Géré par des bénévoles, notre organisme appuie les patients aux prises avec l'anémie aplasique (AA), un syndrome myélodysplasique (SMD) ou l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) et leurs aidants. Depuis plus de 30 ans, l'ACAAM met l'accent sur l'éducation, la défense des intérêts et la recherche, en plus de soutenir les patients qui souffrent d'AA, de SMD ou d'HPN et leurs partenaires de soin partout au Canada.

Ce livret éducatif est une ressource complète à l'intention des Canadiens aux prises avec l'AA et leurs proches pour les accompagner dans leur périple au cours de la maladie, du diagnostic jusqu'au traitement et plus encore.

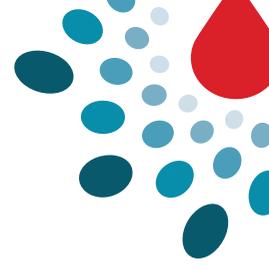
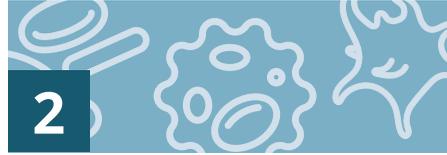


TABLE DES MATIÈRES



1

À propos de la maladie



2

Signes et symptômes



3

Impact de l'anémie
aplasique sur la qualité
de vie



4

Diagnostic de l'anémie
aplasique



5

Comorbidités



6

Vivre avec l'anémie
aplasique



7

Traitements



8

Vaccinations



9

Prise en charge de la
maladie



10

Accès aux traitements
au Canada



11

Remerciements



12

Annexes



13

Liste bibliographique

1 | À PROPOS DE LA MALADIE



À propos de l'anémie aplasique

L'anémie aplasique (AA) est un trouble sanguin auto-immun rare au cours duquel le système immunitaire s'en prend aux cellules souches de la moelle osseuse chargées de fabriquer le sang. Une fois à maturité, les cellules souches se classent en trois types distincts de cellules sanguines : les **globules rouges (GR)**, les **globules blancs (GB)** et les **plaquettes**. Dans l'AA, la moelle osseuse est remplacée par des tissus graisseux anormaux et n'arrive plus à fabriquer les cellules sanguines en quantité suffisante. Cela peut entraîner une pancytopenie, phénomène grave caractérisé par un taux anormalement bas des trois types de cellules sanguines¹.

L'anémie aplasique peut prendre une forme modérée, grave ou très grave, selon la baisse des numérations sanguines. Les personnes qui ont une AA de grave à très grave sont sujettes à des infections ou à des saignements potentiellement fatals. Heureusement, une intervention rapide et adéquate permet à la plupart des gens atteints d'AA de recevoir un traitement efficace au moyen de médicaments ou d'une greffe de moelle osseuse. La greffe de moelle osseuse est la seule modalité à visée curative, mais de nombreux patients peuvent obtenir une rémission et maintenir une bonne qualité de vie grâce à d'autres approches.

Incidence de l'anémie aplasique

En Europe et en Amérique du Nord, on estime l'incidence annuelle de l'AA à deux cas par million, sa prévalence étant nettement plus élevée chez les personnes d'origine est-asiatique². Elle est plus souvent diagnostiquée entre les âges de 10 et 20 ans ou après l'âge de 40 ans et elle affecte les hommes un peu plus que les femmes.

Causes et types d'anémie aplasique

L'anémie aplasique peut survenir à tout âge, même si, typiquement, les cas s'observent à l'âge adulte. Plusieurs causes ont été identifiées comme déclencheurs de l'anémie aplasique, mais dans de nombreux cas la cause reste inconnue, surtout chez les enfants. Il s'agit alors d'une *anémie aplasique acquise*. Parfois, elle est d'origine génétique, typiquement chez les sujets jeunes ou les enfants. Il est alors question d'*anémie aplasique héréditaire*.

1. L'AA acquise est un trouble sanguin auto-immun. Le système immunitaire ne cible généralement que les agents étrangers. Toutefois, lorsque le système immunitaire s'en prend aux cellules sanguines de l'organisme lui-même, on note une baisse des numérations cellulaires. Les principales cellules immunitaires impliquées dans l'AA sont les lymphocytes (ou cellules) T.

Environ 75 cas d'AA acquise sur 100 sont considérés idiopathiques, c'est-à-dire qu'on en ignore la cause. Dans les autres cas, la cause peut fréquemment être attribuée aux éléments suivants :

- **Certains médicaments** – Ce qui inclut entre autres les médicaments pour l'arthrose, l'hyperthyroïdie ou certains problèmes de santé mentale et quelques antibiotiques. La probabilité de souffrir d'AA suite à la prise de ces médicaments est extrêmement faible.
- **Exposition à des produits chimiques** – Une vaste gamme de produits chimiques a été potentiellement mise en cause dans l'AA. Souvent, le lien entre ces produits chimiques et l'anémie aplasique est faible. Toutefois, certaines toxines sont plus susceptibles de provoquer l'AA, telles que certains pesticides, l'arsenic et le benzène.
- **Chimiothérapie contre le cancer**
- **Exposition à de la radiation** – L'AA a été associée à une exposition à des radiations ionisantes dues à des substances radioactives.
- **Infections virales** – Certaines personnes atteintes d'AA ont souffert d'une infection virale au cours des semaines précédant leur diagnostic. Entre autres infections, mentionnons l'hépatite, le virus Epstein-Barr, le cytomégalovirus, le parvovirus B19 et le VIH.
- **Association avec d'autres maladies auto-immunes** comme la polyarthrite rhumatoïde et le lupus.
- **Grossesse** – Cette forme d'AA peut s'améliorer spontanément après l'accouchement.



1. L'anémie aplasique héréditaire se transmet d'une génération à l'autre par héritage génétique. En général, elle se manifeste durant l'enfance et est significativement moins fréquente que l'AA *acquise*. Les personnes atteintes d'AA *héréditaire* manifestent souvent d'autres anomalies génétiques ou développementales qui contribuent à l'apparition de la maladie.

Certaines maladies génétiques peuvent affecter les cellules souches et entraîner l'AA, entre autres :

- Le syndrome de Schwachman-Diamond
- L'anémie de Fanconi
- La dyskératose congénitale
- L'anémie de Blackfan-Diamond

Détermination de la gravité

La moelle osseuse normale produit une certaine quantité de cellules souches. Dans l'AA, le nombre de cellules souches diminue à moins de 25 % de la normale; on qualifie alors la moelle osseuse d'**hypocellulaire**. Il en résulte une incapacité de fabriquer les cellules sanguines et une baisse de leurs numérations. La pancytopenie fait référence à une baisse des taux de toutes les principales lignées de cellules sanguines (globules blancs, globules rouges et plaquettes). Pour déterminer la gravité de la baisse des globules blancs, on utilise en général la numération des neutrophiles, qui en sont un type. De même, pour déterminer la gravité de la baisse des globules rouges, on utilise la numération des réticulocytes (globules rouges jeunes). Selon les taux, l'anémie aplasique peut être qualifiée de modérée, grave ou très grave.

1. Anémie aplasique modérée/non grave (AAM) – Si vous êtes atteint d'une AA non grave ou modérée :

- Vos numérations sanguines peuvent être basses, mais pas aussi basses que dans les cas graves d'AA (voir ci-dessous).
- Vos symptômes peuvent être minimes, voire imperceptibles (voir la section Signes et symptômes).
- Un traitement peut être superflu et votre médecin peut opter pour une surveillance régulière de vos numérations sanguines.
- Votre état peut demeurer stable pendant une longue période.

2. Anémie aplasique grave (AAG) – Si vous faites face à une AA grave, au moins deux des critères suivants s'appliquent :

- Votre numération des neutrophiles diminue à moins de 500 par microlitre.
- Votre numération des réticulocytes (globules rouges jeunes) se situe à moins de 60 000 par microlitre.
- Votre numération plaquettaire chute sous les 20 000 par microlitre.

3. Anémie aplasique très grave (AATG) – Si vous faites face à une AA très grave :

- Votre numération des neutrophiles diminue à moins de 200 par microlitre.
- Votre numération des réticulocytes se situe à moins de 60 000 par microlitre.
- Votre numération plaquettaire chute sous les 20 000 par microlitre.

Comprendre l'anémie aplasique et les maladies associées

Syndromes myélodysplasiques

- Environ 15 % des personnes atteintes d'AA développent éventuellement un **syndrome myélodysplasique (SMD)**, une forme de cancer du sang, en une dizaine d'années.
- Comme l'AA, le SMD peut entraîner une baisse des numérations sanguines.
- Dans les SMD, les cellules souches anormales de la moelle osseuse fabriquent des cellules sanguines irrégulières, tandis que dans l'AA, les cellules souches de la moelle osseuse fabriquent des cellules sanguines normales, mais en quantité insuffisante.
- Le risque de SMD augmente avec l'âge.

Hémoglobinurie paroxystique nocturne

- L'**hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)** est une maladie rare caractérisée par une destruction prématurée anormale des globules rouges.
- Comme l'AA, l'HPN découle d'un problème auto-immun et les analyses sanguines révèlent alors la présence de globules rouges (ou « clones ») HPN.
- Les globules rouges HPN apparaissent quand les cellules souches de la moelle osseuse subissent une mutation du gène PIG-A. Cela rend les globules rouges plus sujets aux attaques du système immunitaire et à leur destruction dans la circulation sanguine, phénomène connu sous le nom d'**hémolyse**. De plus, on note un risque de caillots sanguins et d'atteinte aux organes internes.
- Plus de 20 % des cas d'AA ont des globules rouges HPN au moment du diagnostic, souvent en petite quantité.
- En raison de ces taux faibles, les patients atteints d'AA qui présentent des globules rouges HPN ne manifestent aucun signe d'HPN.

Un exemple historique à retenir est celui de la Dre Marie Curie, reconnue pour ses recherches remarquables sur la radioactivité. Elle a malheureusement succombé à l'anémie aplasique après avoir été en contact prolongé et non protégé avec des substances radioactives, puisque les conséquences délétères des radiations ionisantes étaient encore peu connues à l'époque.

2 | SIGNES ET SYMPTÔMES

L'anémie, les saignements et les infections sont les premières manifestations de l'AA. À mesure que la maladie progresse, les symptômes cliniques s'aggravent graduellement et peuvent s'accompagner d'une anémie grave, de saignements pluriorganiques et de septicémie qui posent tous un risque important pour la santé.

Noter : Selon l'Organisation mondiale de la santé, « Le sepsis est une affection grave qui survient lorsque le système immunitaire de l'organisme présente une réaction extrême à une infection. La réaction de l'organisme cause des dommages à ses propres tissus et organes »³.

Les symptômes de l'AA peuvent varier en intensité selon la gravité de la maladie et les baisses des numérations sanguines. Parmi les symptômes fréquents mentionnés :

- Fatigue et essoufflement au moindre effort
- Étourdissements
- Pâleur
- Ecchymoses et saignements au moindre choc
- Épisodes de saignements prolongés dus à la baisse des numérations plaquettaires
- Infections fréquentes accompagnées de fièvre ou de frissons qui sont lentes à guérir en raison d'un manque de GB normaux (neutrophiles, surtout)

Il arrive que des gens ne présentent aucun symptôme et que l'AA soit découverte fortuitement lors d'analyses de routine. Certains des symptômes mentionnés peuvent aussi être associés à d'autres maladies, comme des infections virales. Il est donc essentiel de consulter votre médecin pour un examen approfondi et un traitement approprié.

Voici une liste de symptômes plus spécifiques de l'AA habituellement associés à des taux insuffisants de chacun des types de cellules sanguines.



Une **baisse globale des numérations de globules blancs (GB)** porte le nom de **leucopénie**. Il existe plusieurs types de globules blancs. Les principaux sont les neutrophiles, responsables de la lutte contre les infections, bactériennes surtout. Les personnes qui ont une **leucopénie** sont plus sensibles aux infections fongiques et bactériennes. Les personnes qui ont un taux faible de GB peuvent présenter les problèmes suivants :

- Infections et fièvre à répétition, et risque accru d'infections graves
- Infections urinaires qui entraînent de la douleur à la miction ou des mictions plus fréquentes
- Infections pulmonaires entraînant une gêne respiratoire et la toux
- Toux grave
- Essoufflement
- Plaies à la bouche
- Congestion nasale et sinusite
- Infections, rougeurs ou enflures cutanées
- Maux de gorge
- Plaques rouges ou blanches dans la bouche
- Diarrhée
- Démangeaisons vaginales ou pertes vaginales inhabituelles

IMPORTANT : Chez une personne atteinte d'AA, la fièvre peut susciter l'inquiétude. En présence de fièvre, il faut consulter rapidement. La fièvre se définit par une seule lecture à $\geq 38,3$ degrés Celsius, ou à $\geq 38,0$ degrés Celsius pendant plus d'une heure.



Une **baisse de l'hémoglobine** cause l'**anémie**. Les personnes atteintes d'anémie peuvent présenter les symptômes suivants :

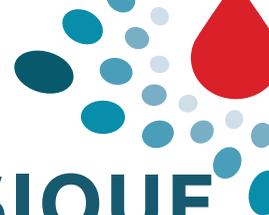
- Fatigue à divers degrés
- Difficulté à se concentrer ou à rester alerte
- Perte de poids et/ou d'appétit
- Pâleur
- Gêne respiratoire
- Pulsation rapide ou palpitations cardiaques
- Étourdissements ou syncopes
- Difficulté à gravir un escalier ou faire de l'exercice.



Une **faible numération plaquettaire** porte le nom de **thrombocytopénie**. Les personnes qui ont une numération plaquettaire basse sont plus exposées à un risque d'ecchymoses au moindre choc et de saignements soudains des muqueuses, particulièrement des gencives et des voies nasales. Ces personnes peuvent présenter :

- Ecchymoses
- Menstruations anormalement abondantes
- Saignements de nez
- Petits points rouges aplatis sous la peau (pétéchies)
- Saignements des gencives après le brossage des dents et les traitements dentaires
- Hémorroïdes

IMPORTANT : Un saignement incontrôlé représente une urgence médicale pour les personnes atteintes d'AA. Si un patient manifeste un saignement qu'on ne peut enrayer au moyen de mesures standard, comme l'application de pression, il faut consulter immédiatement.



3 | IMPACT DE L'ANÉMIE APLASIQUE SUR LA QUALITÉ DE VIE



Une prise en charge médicale rapide et appropriée, permet à la plupart des personnes qui ont un diagnostic d'AA de recevoir un traitement efficace, et dans certains cas, d'obtenir une guérison complète. La majorité des gens peuvent reprendre leurs activités régulières après le traitement; il faut cependant être patient et dans certains cas, essayer différentes modalités thérapeutiques pour obtenir de bons résultats.

Des soins médicaux réguliers et la surveillance des complications potentielles sont indispensables au maintien d'un bon état de santé.

Un diagnostic d'AA est parfois très difficile à accepter pour le patient et ses proches, puisqu'il a un fort impact psychologique et émotionnel⁴ en plus d'affecter la qualité de vie. Cela est dû aux manifestations cliniques graves de la maladie qui peuvent donner lieu à des urgences hématologiques et imposer un lourd fardeau financier au système de santé, aux patients et à leurs aidants⁵.

De plus, les transfusions sanguines nécessaires peuvent être exigeantes en termes de temps et de ressources, ce qui peut aussi affecter la qualité de vie globale. Lors d'une étude de 2018 sur l'importance de l'indépendance transfusionnelle, les participants atteints d'AA grave⁶ ont indiqué que « l'indépendance transfusionnelle allégerait leur fardeau en termes de temps et de coûts, leur donnerait un meilleur contrôle sur leur vie et une meilleure qualité de vie en plus d'engendrer moins de fatigue et de faciliter la logistique des rendez-vous médicaux ».

Les patients échangent entre eux à propos de leurs difficultés sur différents forums, soit individuellement, soit par le biais de plateformes offertes à des groupes partout dans le monde. Ces difficultés peuvent être amplifiées par le manque de connaissances générales au sujet de la maladie. Une jeune de 19 ans qui a relaté son histoire à la *Anthony Nolan Cancer Charity*, au Royaume-Uni, a expliqué comme suit ses problèmes de santé mentale en lien avec l'anémie aplasique : « *Vivre avec cette maladie n'est pas facile. Il y a les symptômes invalidants, le manque de compréhension autour de moi. J'ai l'impression que ma vie ne m'appartient plus parce que tout tourne autour de la maladie.* » Au Canada, les patients font appel au public pour des dons de sang et de cellules souches car les transfusions sanguines et les greffes de cellules souches sont cruciales alors qu'elles ne sont pas toujours disponibles.

Compte tenu de l'impact de la maladie sur la santé mentale, il est important aussi de créer des liens et de se tourner vers diverses formes de soutien (communauté spirituelle, amis, famille, groupes d'entraide pour les patients ou les aidants, et thérapeutes professionnels). Ces formes d'aide peuvent aider les patients à s'adapter à la maladie et à composer avec son impact sur leur équilibre émotionnel.

Pour des renseignements au sujet des programmes de soutien et des groupes d'entraide à l'intention des personnes aux prises avec l'AA au Canada, n'hésitez pas à communiquer avec L'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie du Canada (ACAAM), à l'adresse info@aamac.ca, ou au numéro 1 888 840-0039.

4 | DIAGNOSTIC DE L'ANÉMIE APLASIQUE



L'anémie aplasique est une maladie rare que peu de médecins risquent de bien connaître ou d'avoir traitée. Par conséquent, les gens atteints auront peut-être des symptômes pendant une période prolongée avant de recevoir un diagnostic précis et un plan de traitement approprié. Il est donc très important d'avoir le plus rapidement possible une consultation en hématologie ou en oncologie, spécialisée dans le traitement des insuffisances médullaires (de la moelle osseuse) comme l'AA.

Diagnostiques et tests

Antécédents médicaux

Pour comprendre ce qui cause vos symptômes et la baisse des numérations sanguines révélée par vos analyses, votre médecin procédera à une revue complète de vos antécédents médicaux. Dans le cadre de cette évaluation, il pourrait vous poser certaines des questions suivantes :

- Quels sont vos symptômes?
- Avez-vous utilisé des médicaments ou des suppléments à base de plantes récemment?
- Avez-vous été exposé à des produits chimiques potentiellement dangereux?
- Avez-vous déjà reçu de la chimiothérapie ou de la radiothérapie?
- Avez-vous remarqué que votre urine était foncée (de la couleur du thé) le matin?
- Avez-vous récemment reçu un diagnostic d'inflammation du foie?
- Avez-vous déjà souffert d'anémie ou d'une maladie causant l'anémie?

- Avez-vous éprouvé des symptômes tels essoufflement, étourdissements, maux de tête ou tout autre signe d'anémie?
- Avez-vous souffert d'infections ou en avez-vous manifesté les signes, comme de la fièvre?
- Avez-vous des ecchymoses au moindre choc ou des saignements fréquents?
- Souffrez-vous d'autres problèmes de santé comme la polyarthrite rhumatoïde, le lupus érythémateux disséminé, l'hépatite ou le VIH?
- Êtes-vous enceinte?

Le fait de prendre en compte tous les antécédents médicaux aide votre médecin à poser le bon diagnostic.

Formule sanguine complète (FSC) – La FSC est un test complet par lequel on mesure les taux des divers composants du sang, y compris les GR, les GB et les plaquettes, et qui permet de suivre la maladie. Si la FSC révèle une baisse de la numération des globules rouges (GR), des globules blancs (GB) ou des plaquettes, le médecin peut demander un test appelé frottis sanguin qui est un examen microscopique des cellules. Voici ce que le médecin passe en revue :

- **GB, GR et plaquettes.** Une baisse des numérations pourrait indiquer une anémie aplasique.
- **Numération des réticulocytes**, qui évalue la quantité de GR jeunes dans votre sang. Les personnes atteintes d'anémie aplasique ont en général une baisse de leurs taux de réticulocytes.

Autres analyses sanguines. D'autres analyses sanguines sont souvent effectuées en plus de la FSC, dans le but d'identifier les problèmes de la moelle osseuse susceptibles d'entraîner une baisse des diverses numérations sanguines; elles aident à évaluer les anomalies des cellules sanguines.

- **Taux d'érythropoïétine**, ou **EPO**. L'EPO est fabriquée par les reins en réponse à une baisse de la numération des globules rouges et à l'anémie. L'EPO stimule alors la fabrication de GR dans la moelle osseuse. Un faible taux d'EPO peut être le signe d'une autre maladie que l'anémie aplasique. Votre médecin pourrait vous prescrire de l'EPO synthétique si vos taux sont bas afin de stimuler la fabrication de globules rouges en plus grand nombre.
- La **mesure du taux de fer** aussi appelée **test de ferritine** mesure la concentration de fer dans la circulation sanguine. Une anémie ferriprive (par déficience en fer) peut facilement



être gérée au moyen de suppléments de fer. À l'inverse, un taux de fer trop élevé, connu sous le nom de surcharge ferrique, peut résulter de transfusions fréquentes ou de maladies génétiques. Il existe plusieurs traitements pour corriger la surcharge ferrique.

- La **mesure du taux de vitamine B12 et de folate** permet d'exclure d'autres facteurs qui contribuent à la baisse des taux de globules rouges. Des taux inadéquats de vitamine B12 et de folate (acide folique) peuvent donner aux GR une forme, une taille ou une apparence anormales et entraîner l'anémie.
- **Dépistage des maladies virales**, dont l'hépatite B, l'hépatite C et le VIH, entre autres.
- Les **épreuves de fonctions rénale et hépatique** sont utilisées pour détecter la présence de maladies du foie ou des reins.
- **Test de grossesse**

Analyse de la moelle osseuse : Un examen de la moelle osseuse est crucial pour le diagnostic de l'AA. Initialement, le médecin prélève un spécimen de moelle osseuse à l'aide d'une aiguille creuse, habituellement au niveau du bassin ou du sternum. De plus, un segment solide de moelle osseuse est prélevé dans le cadre d'une biopsie. Cette intervention peut provoquer une douleur temporaire lors de l'insertion de l'aiguille, mais l'inconfort est de courte durée et ne devrait pas persister.

Le médecin examinera la portion liquide de la moelle osseuse à l'aide d'un microscope et acheminera le spécimen de moelle osseuse vers un laboratoire pour analyse plus approfondie. Cette analyse de la moelle osseuse permet plusieurs choses : confirmer un diagnostic d'anémie aplasique (tout en écartant d'autres insuffisances médullaires), évaluer l'efficacité de la moelle osseuse à fabriquer les cellules sanguines, déterminer la cellularité (quantité de cellules dans un spécimen de moelle osseuse), identifier les types et la quantité de cellules

fabriquées, vérifier les taux de fer et la présence d'anomalies chromosomiques (ADN).

Examen physique : Votre médecin procédera à un examen physique pour détecter tout signe d'AA. L'objectif est d'évaluer la gravité de la maladie et en identifier les causes sous-jacentes.

Durant l'examen, votre médecin pourrait observer certains signes, comme la pâleur ou un teint jaune, ou tout indice de saignement ou d'infection. Il pourrait aussi effectuer un examen plus poussé qui inclut l'auscultation de votre cœur et de vos poumons et une palpation de votre abdomen pour évaluer la taille de votre foie, de votre rate et vérifier si vous présentez de l'enflure (œdème) aux jambes.

Autres tests

Des symptômes semblables à ceux de l'AA peuvent être attribués à diverses autres maladies. C'est pourquoi certains tests sont parfois nécessaires pour exclure ces possibilités, entre autres :

- **Radiographie, tomодensitométrie (TDM ou « scan ») ou échographie**. Ces outils diagnostiques sont utilisés pour examiner les organes, notamment le foie et les reins, ainsi que les os des bras et des mains. On observe des anomalies des os chez les personnes jeunes qui souffrent d'AA héréditaire comme l'*anémie de Fanconi*, une maladie qui peut conduire à l'AA. Les épreuves d'imagerie peuvent aussi révéler la présence de ganglions enflés, un signe potentiel de cancer du sang ou autre.
- **Radiographie pulmonaire**. Elle permet de visualiser les structures internes du thorax, comme le cœur et les poumons. Cette modalité diagnostique est utilisée pour vérifier la présence d'une possible infection.

Votre médecin pourrait aussi suggérer des analyses sanguines pour détecter l'HPN et vérifier si votre système immunitaire a fabriqué des anticorps, qui sont des protéines capables de s'attaquer aux cellules de votre moelle osseuse et entraîner l'AA.

5 | COMORBIDITÉS



Il est important de noter que, comme avec toute autre maladie, des **comorbidités** peuvent être présentes chez les personnes atteintes d'AA. Il est important de parler de leur diagnostic et de leur traitement avec le médecin.

6 | VIVRE AVEC L'ANÉMIE APLASIQUE



S'orienter avec les soins



Se préparer pour les rendez-vous : C'est facile d'oublier des questions importantes durant une consultation en personne ou virtuelle avec votre spécialiste de l'AA. Avant un rendez-vous, il est important de noter vos questions et de les clarifier de façon satisfaisante avec l'hématologue/oncologue ou son équipe. Il est aussi utile d'apporter un carnet de notes pour écrire les réponses ou si possible d'enregistrer la consultation pour la réécouter plus tard. Certaines personnes aiment être accompagnées durant leurs rendez-vous pour s'assurer d'obtenir des réponses à toutes leurs questions.



Gérer l'information médicale : Il est important de garder ensemble vos renseignements médicaux, y compris les résultats d'analyses et les dossiers médicaux. On peut envisager d'organiser et de conserver ces documents dans un cahier, à l'ordinateur ou sur un serveur informatique au moyen d'un téléphone intelligent ou d'une tablette pour y accéder facilement au besoin.



Stratégie thérapeutique : Il est important de collaborer avec votre médecin pour l'établissement du plan de traitement. Ce plan doit tenir compte du diagnostic, des options thérapeutiques offertes et du but ultime du traitement. Il est unique à chaque personne et adapté à des facteurs comme l'âge, les résultats des analyses sanguines et le bien-être global, en plus d'autres variables. Il est important de bien revoir le plan de traitement fourni et de

s'assurer d'être à l'aise avec l'approche. Un plan de traitement bien conçu devrait vous procurer un sentiment de contrôle et d'optimisme face à l'avenir.



Systèmes de soutien : Composer avec l'AA et s'orienter dans le processus thérapeutique peut être difficile. Les personnes éprouvent souvent de la fatigue, de l'inconfort ou de l'anxiété dans une telle situation. C'est pourquoi il est important de demander de l'aide. Demandez à vos proches s'ils peuvent vous assister dans certaines tâches comme l'épicerie, ou le transport pour vos rendez-vous médicaux. Vous pourriez être agréablement surpris de constater que les gens sont heureux de donner un coup de main quand on le leur demande.

De plus, prévoyez une séance avec un thérapeute ou un professionnel en santé mentale. Si possible, cherchez une personne qui a de l'expérience avec des problèmes de santé comme l'AA. Demandez à votre médecin s'il connaît l'existence de réseaux de soutien pour les personnes atteintes d'AA ou d'autres maladies similaires. Vous joindre à un groupe d'entraide peut offrir des occasions précieuses d'échanger sur les expériences vécues et de recevoir des conseils pour mieux composer avec l'anémie aplasique. Interagir avec des gens qui comprennent réellement votre situation peut avoir un impact significatif sur votre qualité de vie globale.

Pour plus de renseignements sur les groupes de soutien relatifs à l'anémie aplasique au Canada, n'hésitez pas à communiquer avec l'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM), à l'adresse info@aamac.ca, ou au numéro 1 888 840-0039.



Composer avec le stress : Faire face à une maladie peut être accablant, stressant ou déprimant. Les personnes abandonnent souvent les activités qu'elles appréciaient et se replient sur elles-mêmes. Les médicaments et divers traitements peuvent soulager les symptômes et améliorer les numérations sanguines, mais elles n'ont pas d'impact sur le bien-être émotionnel. C'est pourquoi on recommande fortement d'explorer les thérapies axées sur le corps et l'esprit pour réduire le stress et améliorer le bien-être émotionnel. Ces approches thérapeutiques peuvent aussi procurer un soulagement de la douleur et améliorer la vitalité. Voyez si des approches comme la méditation, les exercices



de respiration profonde, l'aromathérapie, le yoga, le tai-chi, l'acupuncture ou la massothérapie valent la peine d'être essayées.

Faire des choses simples que vous appréciez, qui vous font sourire, peut aussi vous aider. Il peut s'agir de passe-temps, de promenades dans la nature ou d'autres activités qui offrent une distraction bienvenue.

IMPORTANT : Avant d'explorer les approches axées sur le corps et l'esprit, consultez le médecin qui supervise votre traitement pour discuter des risques potentiels de saignement ou d'infection. Votre établissement de santé pourrait avoir des professionnels capables de vous aider à établir un plan personnalisé selon vos besoins particuliers.



Composer avec la fatigue : L'AA peut perturber votre niveau d'énergie et la fatigue chronique est souvent présente. Elle se caractérise par un épuisement profond et le ralentissement général de votre organisme, qui se manifestent par de la somnolence, de la lassitude et une faiblesse physique, cognitive et émotionnelle. Elle affecte plusieurs aspects de la vie quotidienne, joue sur l'humeur, la confiance en soi et la stabilité émotionnelle et on ne peut pas en venir à bout simplement avec du repos. Pour contrer efficacement la fatigue, identifiez les activités qui grugent votre énergie et celles qui vous font du bien, comme de passer du temps avec vos proches ou faire une promenade énergisante. La conservation de l'énergie est une question d'équilibre.

1. **Priorisez et planifiez votre temps** – Évaluez vos tâches et établissez vos priorités. Évitez de surcharger votre horaire, surtout si cela affecte votre concentration ou votre mémoire. Utilisez des listes pour le magasinage et tenez un journal ou notez vos rendez-vous dans un calepin.
2. **Respectez votre rythme et votre espace** – Planifiez des pauses régulières au cours de la journée. Reconnaissez vos réalisations, demandez de l'aide au besoin et n'hésitez pas à refuser certaines activités. Organisez votre environnement pour éviter de trop vous pencher ou vous étirer.
3. **Adoptez des techniques de relaxation** – Intégrez des pratiques comme la visualisation, les exercices de respiration ou la méditation dans votre routine quotidienne. Elles peuvent vous donner un meilleur sentiment de contrôle sur votre situation.
4. **Tenez compte de la fatigue mentale** – Il faut comprendre que la fatigue n'a pas d'impact uniquement sur votre bien-être physique; elle peut aussi conduire à l'anxiété, au stress et à l'abattement. Si vous êtes à l'aise, exprimez vos émotions à vos proches pour recevoir leur soutien et vous sentir compris.



Nutrition et exercice : Il est crucial de continuer de bien vous nourrir et de conserver vos saines habitudes alimentaires en plus de suivre votre plan de traitement. Idéalement, votre professionnel de la santé vous aidera à prévoir un régime alimentaire optimal. Pour les personnes aux prises avec une insuffisance médullaire, comme l'AA, on conseille de suivre un régime sain et équilibré, incluant fruits, légumes, légumineuses et grains entiers, de consommer des aliments riches en minéraux, vitamines, fibres, énergie et protéines, et de surveiller votre apport en sodium. Pour vous assurer que votre organisme reçoit suffisamment d'acide folique et de fer, votre médecin pourrait vous recommander des suppléments en vente libre. L'acide folique et le fer jouent un rôle important dans la fabrication des globules rouges.

IMPORTANT : Consultez toujours votre professionnel de la santé pour choisir les suppléments qui conviennent le mieux à vos besoins et demandez-lui conseil avant de prendre quelque médicament, vitamine ou supplément à base de plante que ce soit.

L'exercice physique peut aussi améliorer votre bien-être global pendant votre traitement pour l'AA. Vous avez peut-être fait face à certaines limitations physiques par le passé. Le fait de recevoir un traitement pourrait vous permettre de reprendre des activités simples, comme la marche ou des tâches ménagères légères, et même augmenter vos capacités physiques. Toutefois, il est important de se rappeler que certains des symptômes que vous aviez avant le traitement pourraient persister. Il faut donc adopter un nouveau programme d'exercice uniquement lorsque votre santé est optimale, et avec l'autorisation de votre médecin.



Attention au sepsis : En tant que personne atteinte d'AA, votre vulnérabilité aux infections et à la neutropénie accroît votre risque de sepsis. C'est pourquoi, pour votre bien-être, il faut savoir reconnaître les symptômes.

IMPORTANT : Si vous présentez l'un ou l'autre des symptômes suivants avec de la fièvre (une seule lecture à $\geq 38,3$ degrés Celsius, ou à $\geq 38,0$ degrés Celsius pendant une heure) ou des frissons, vous devez consulter immédiatement. Sachez que si vous avez une neutropénie (trop peu de neutrophiles, un type de globules blancs) et que vous présentez de la fièvre, même sans autres symptômes, vous devriez consulter immédiatement.

SYMPTÔMES DU SEPSIS

ADULTES

Signes de sepsis
chez l'adulte :

Élocution ralentie ou confusion
Frissons solennels ou douleurs musculaires
Aucune miction (au cours d'une journée)
Grave essoufflement
Sensation de mort imminente
Peau marbrée ou pâleur

ENFANTS

Signes de sepsis
chez l'enfant :

- Signes de sepsis chez l'enfant :
- Respiration très rapide
- Convulsions
- Peau marbrée ou bleuâtre, pâleur
- Rougeur qui ne pâlit pas quand on applique une pression
- Grande léthargie ou somnolence
- Froideur anormale au toucher

En cas de sepsis, rappelez-vous :

- Rendez-vous tout de suite à l'hôpital.
- Préparez un sac, et laissez-le dans votre auto ou près de la porte principale. Même le temps nécessaire pour préparer votre sac peut avoir un impact sur la réussite du traitement.
- Prenez conscience de votre état de santé habituel. Comprenez ce qui est normal pour vous et si quelque chose semble anormal, consultez. Il vaut mieux être prudent.
- Si un professionnel de la santé, comme un urgentologue, vous examine et vous renvoie à la maison, mais que votre état continue de s'aggraver, n'hésitez pas à consulter de nouveau. Il est important de défendre vos intérêts étant donné que votre vie pourrait être en danger.
- Assurez-vous que vos proches connaissent les symptômes du sepsis et sachent quelles mesures prendre s'ils vous soupçonnent d'en souffrir. Le sepsis peut provoquer un peu de confusion.
- Souvenez-vous que si vous reconnaissez l'un ou l'autre des symptômes du sepsis mentionnés plus haut, ou que vous présentez une fièvre inexplicable et un malaise général, il faut consulter rapidement.

Bonne hygiène buccale en cas de neutropénie : La bouche contient beaucoup de bactéries, même chez une personne en bonne santé. Si vous êtes neutropénique, il est d'autant plus important de conserver une bonne hygiène buccale afin de réduire les risques d'infection. Et cela est particulièrement crucial si vous recevez un traitement par GAT équine (ATGAM^{MD}) ou une greffe de cellules souches. En présence d'immunosuppression due à des traitements comme la chimiothérapie ou certains médicaments, vous pourriez présenter des lésions ou des ulcères au niveau du tractus digestif; les bactéries peuvent s'en servir comme porte d'entrée vers la circulation sanguine et entraîner des infections systémiques ou même l'endocardite (infection de l'enveloppe du cœur).

Brossage des dents – Un brossage des dents régulier au moyen d'une brosse souple peut aider à réduire le risque de maladies

des gencives et d'infections buccales. Utilisez une brosse à dents souple pour éviter d'endommager accidentellement vos gencives, comme le ferait un brossage trop vigoureux ou l'utilisation d'une brosse plus rigide. Votre équipe soignante pourrait aussi vous prescrire un rince-bouche antimicrobien, généralement à base de chlorhexidine. Si vous présentez une sensibilité accrue aux infections, il est conseillé de vous brosser les dents quatre fois par jour et d'utiliser un rince-bouche antimicrobien.

Gestion de l'urgence urinaire et des mictions fréquentes



Certaines personnes traitées pour l'AA constatent une augmentation des mictions impérieuses (urgentes). Cela peut fatiguer vos reins. Votre équipe soignante vous conseillera sur la façon de rester bien hydraté, vous encouragera à boire beaucoup d'eau, surtout si vous prenez de la cyclosporine (un antibiotique). Augmenter votre apport quotidien en liquide à 2 ou 3 litres entraînera une production d'urine plus abondante. Mais un apport liquidien insuffisant pourrait donner lieu à une urine concentrée et causer une irritation de votre vessie, des symptômes d'hyperactivité vésicale ou d'infection urinaire.

Influence de la caféine – Réduire votre consommation de caféine pourrait aussi diminuer les mictions impérieuses et leur fréquence, étant donné que les boissons très caféinées ont des propriétés diurétiques qui font uriner plus souvent. Vous pourriez opter pour des boissons décaféinées ou éviter les boissons à forte teneur en caféine à l'heure du dîner. Cet ajustement pourrait réduire les symptômes nocturnes.

Entraînement vésical – Vous pouvez aussi envisager un entraînement vésical. Les personnes qui présentent des mictions impérieuses développent souvent l'habitude d'aller fréquemment à la toilette. Cette habitude peut aggraver l'impériosité puisque la vessie s'habitue à ne retenir que de petites quantités d'urine et devient plus sensible ou hyperactive. L'entraînement vésical peut être efficace pour corriger ou résoudre les problèmes de vessie hyperactive.



Gestion des saignements de nez : Les personnes qui souffrent d'AA grave et de thrombocytopenie (taux faibles de plaquettes) significative sont exposées à un risque élevé d'épisodes hémorragiques graves et de saignements généraux. Ces saignements surviennent spontanément et affectent la bouche ou le nez. Si vous présentez un saignement de nez persistant à la maison, contactez votre professionnel de la santé pour des conseils. On vous recommandera de vous rendre directement à votre service d'urgence local puisque vous pourriez avoir besoin d'une transfusion de plaquettes pour enrayer le saignement. Ces symptômes sont déroutants, mais les premiers soins de base peuvent aider à maîtriser le saignement jusqu'à ce que vous puissiez consulter.

Pour enrayer efficacement un saignement de nez, vous pouvez suivre ces deux étapes :

1. Assoyez-vous et appliquez une pression ferme sur la partie molle de votre nez, au-dessus des narines, pendant au moins 10 à 15 minutes.
2. Penchez-vous délicatement vers l'avant et respirez par la bouche, ce qui permettra au sang de s'écouler vers votre nez plutôt qu'à l'arrière de votre gorge.



Planification financière : Les personnes qui souffrent de maladies comme l'AA parlent souvent de son impact négatif sur leur situation financière pendant le traitement. Les dépenses mensuelles peuvent augmenter en lien avec une hausse des frais de déplacement ou des frais de garde, et le revenu baisse si vous devez vous absenter du travail pour des rendez-vous médicaux. Le revenu du ménage pourrait diminuer si vous ou votre aidant devez cesser de travailler ou travailler moins sur une base permanente ou temporaire en raison du diagnostic. Pour atténuer le stress et l'inquiétude, vous pourriez appliquer les mesures suivantes :

- Commencez par **évaluer votre revenu et vos actifs financiers**. Les questions à se poser incluent :
 - Quel type de congé médical payé ou non est accessible pour vous et/ou votre aidant?
 - Est-ce que vous ou votre aidant pouvez envisager un emploi à temps partiel?
 - Disposez-vous d'une protection du revenu ou d'une assurance quelconque pour maladie grave, ou une telle protection fait-elle partie de votre police d'assurance vie?
 - Avez-vous des économies ou une marge de crédit, au besoin?
- Ensuite, **dressez la liste des dépenses que vous envisagez à court terme**. Si vous n'en avez pas déjà, faites un budget qui reflète fidèlement vos finances pendant le traitement.
- Vous pourriez vouloir vérifier s'il vous est possible de **contracter une assurance vie** à cette étape, si vous n'en aviez pas déjà avant votre diagnostic.

- Si vous êtes dans l'**incapacité de procéder au remboursement habituel de vos prêts, hypothécaires ou autres, en raison de graves problèmes de santé**, il est recommandé d'en informer rapidement les établissements concernés. Les banques et autres institutions financières offrent habituellement des accommodements spécifiques pour les clients qui font face à des difficultés financières en raison de problèmes de santé.

Pour **des renseignements sur l'aide financière offerte aux Canadiens aux prises avec l'anémie aplasique**, n'hésitez pas à communiquer avec l'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM), à l'adresse info@aamac.ca, ou au numéro 1 888 840-0039.



Discussion avec l'employeur : Vous avez le choix d'informer ou non votre employeur que vous êtes atteint d'AA. Indépendamment de cela, il est important de connaître les critères d'admissibilité à un congé de maladie à court et long terme et à d'autres couvertures d'assurance santé privées que vous pourriez détenir par l'entremise de votre employeur.

Une majorité d'employeurs appuie équitablement leurs employés qui font face à une maladie à l'intérieur des limites prévues par la loi, mais certains peuvent y faire obstruction de manière injustifiée, voire illégale.

Parmi les problèmes potentiels, mentionnons : mise à pied, chômage, rétrogradation, rejet des demandes d'avancement, refus des prestations, réaffectation imposée ou traitement injuste de la part des collègues.

IMPORTANT : Selon votre situation spécifique, il serait à conseiller de consulter un expert en droit du travail qui connaît les règles concernant les personnes atteintes de maladies graves.



Autodéfense de vos intérêts : À n'importe quel moment au cours de votre périple avec l'AA, vous pourriez faire face à une situation où vous devrez défendre vos intérêts ou ceux de votre être cher. Ces situations pourraient vous obliger à communiquer avec diverses instances, y compris votre médecin, l'hôpital où vous-même ou votre être cher êtes traité, ou le gouvernement, pour accéder à des soins et des traitements.

Une première étape pour lutter contre les obstacles en cours de route serait de discuter de votre situation avec un groupe de soutien et des personnes ayant eu un parcours similaire qui pourraient vous fournir de judicieux conseils. Pour de l'aide lors de situations où vous devez défendre vos intérêts ou ceux d'un être cher, vous pourriez aussi communiquer avec l'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM).

7 | TRAITEMENTS

Les personnes atteintes d'AA légère ou modérée pourraient n'avoir besoin d'aucun traitement si leur état reste stable. Toutefois, en présence d'AA grave, une intervention médicale immédiate s'impose pour prévenir les complications. En cas d'AA très grave, des soins hospitaliers d'urgence peuvent être requis, puisqu'il s'agit d'une maladie menaçant le potentiel vital si on ne la traite pas. De plus, éliminer les causes de l'AA, comme l'exposition à des toxines, pourrait mener à la guérison.

Voici quelques approches utilisées par les médecins pour traiter l'AA :

Traitement de soutien

Antibiotiques : Beaucoup de gens atteints d'AA sont sujets aux infections et ont du mal à les combattre efficacement à cause de leur neutropénie (taux insuffisant de neutrophiles, type de GB). Les antibiotiques peuvent aider, mais il faut les débiter rapidement chez les patients dont la numération des neutrophiles est basse et qui font de la fièvre.

Si vous souffrez d'AA et présentez de la fièvre, consultez votre médecin immédiatement ou rendez-vous au service des urgences.

Transfusions sanguines : Une transfusion sanguine est une intervention médicale standard. La majorité des gens qui souffrent d'une insuffisance médullaire, comme l'AA, recevront au moins une transfusion. Pendant une transfusion sanguine, les éléments du sang perfusé passent dans la circulation par voie intraveineuse pour aider à hausser les numérations sanguines basses. Parmi les effets indésirables des transfusions sanguines, mentionnons :

- **Surcharge ferrique :** Les transfusions sanguines à répétition peuvent donner lieu à une accumulation de fer dans l'organisme qui peut menacer le pronostic vital si elle n'est pas traitée adéquatement. La surcharge ferrique est traitée au moyen de médicaments appelés chélateurs du fer qui éliminent le fer excédentaire (voir ci-dessous).
- **Réactions transfusionnelles :** Les transfusions de plaquettes sont plus susceptibles de déclencher une réponse allergique qui entraînera des symptômes comme des frissons et une augmentation de la température corporelle. Une transfusion sanguine peut aussi entraîner ce que l'on appelle une **réaction transfusionnelle hémolytique**. C'est une complication au cours de laquelle les GR administrés à un patient sont détruits par son système immunitaire. Ses symptômes peuvent inclure la présence de sang dans l'urine,



des étourdissements ou des syncopes, une rougeur cutanée, de la fièvre, des douleurs au dos et plus⁷.

La surcharge circulatoire post-transfusionnelle ou SCPT est aussi une réaction transfusionnelle fréquente qui peut entraîner un *œdème pulmonaire*, soit une accumulation anormale de liquide dans les poumons, principalement due à un volume sanguin important⁸.

Traitement de chélation du fer : Les personnes atteintes d'AA qui reçoivent de fréquentes transfusions sanguines pourraient présenter une accumulation de fer dans leur organisme. Cette accumulation fait l'objet d'une surveillance au moyen d'analyses sanguines périodiques, comme le test de saturation du fer sérique et le taux de ferritine sérique pour mesurer la quantité de fer dans le sang. S'ils sont recommandés par le médecin, plusieurs traitements peuvent faire baisser le taux de fer dans le sang. Les traitements de chélation du fer (oraux, sous-cutanés ou intraveineux) approuvés au Canada pour corriger la surcharge ferrique incluent le déférasirox (Exjade^{MD}, Jadenu^{MD}) et la déféroxamine (Desferal^{MD}).

Le traitement de chélation du fer peut entraîner un risque accru d'anomalies de la vision des couleurs et de perte auditive entre autres effets indésirables. Les patients qui reçoivent ces traitements doivent subir périodiquement des examens de la vue en ophtalmologie et des tests de l'ouïe en audiologie.

Facteurs de croissance : Il s'agit d'hormones présentes normalement dans l'organisme qui acheminent les signaux à notre moelle osseuse afin qu'elle fabrique certains types spécifiques de cellules sanguines en plus grande quantité. Dans certains cas, des facteurs de croissance synthétiques sont administrés pour les insuffisances médullaires afin de stimuler la fabrication de GR, de GB ou de plaquettes.

- **Facteurs de croissance des globules rouges (GR) :** L'**érythropoïétine** (aussi appelée EPO) est un facteur de



croissance fabriqué par les reins qui stimule la moelle osseuse à fabriquer plus de globules rouges. Lorsqu'il y a un déficit en globules rouges, des agents d'EPO de synthèse peuvent aider la moelle osseuse à en fabriquer davantage. Ces médicaments sont appelés agents stimulant l'érythropoïèse (ASÉ) et sont administrés par injection. Les ASÉ offerts au Canada incluent l'époétine alfa (Eprex^{MD}) et la darbépoétine alfa (Aranesp^{MD}).

- **Facteurs de croissance des globules blancs :** Si vous présentez une infection en raison d'une baisse de votre taux de GB, ces médicaments peuvent aider votre moelle osseuse à en fabriquer davantage. Selon la recherche, l'intégration de tels médicaments au traitement des gens qui souffrent d'insuffisance médullaire offre des avantages minimes ou non significatifs. Par conséquent, les médecins suggèrent habituellement leur utilisation à court terme pour augmenter les numérations de globules blancs avant une chirurgie, par exemple, ou en cas d'infection grave. Ils sont administrés par injection sous-cutanée et il en existe deux types :

- Le **facteur stimulant les colonies de granulocytes (G-CSF)** est une hormone qui stimule la fabrication des globules blancs. Les agents de type G-CSF approuvés au Canada incluent le filgrastim (Neupogen^{MD}) et le pegfilgrastim (Neulasta^{MD}).
- Le **facteur stimulant les colonies de granulocytes-macrophages (GM-CSF)** est un autre type de facteur de croissance. Le sargramostime (Leukine^{MD}) est un exemple de GM-CSF approuvé au Canada. Ce médicament peut aider les patients qui ont des taux bas de neutrophiles (globules blancs) et sont sujets aux infections.
- **Facteurs de croissance plaquettaire :** L'eltrombopag (vendu sous le nom Revolade^{MD} au Canada) est un facteur de croissance qui stimule la fabrication des plaquettes dans la moelle osseuse. Il est administré en comprimés par la bouche. L'eltrombopag en doses plus élevées s'est révélé apte à améliorer la réponse, en association avec un immunosuppresseur. Votre médecin pourrait vous prescrire l'eltrombopag en association avec un immunosuppresseur pour améliorer vos numérations sanguines.



Même s'ils peuvent être efficaces, ces agents contribuent parfois à inhiber encore plus le système immunitaire. De plus, il y a un risque de récurrence de l'anémie une fois les médicaments cessés.

La **globuline antithymocytes (GAT)** est fabriquée en injectant des globules blancs humains (lymphocytes T) à un cheval ou un lapin, puis en extrayant les anticorps (protéines) qu'ils génèrent pour créer un sérum. Ce traitement est parfois appelé sérum antilymphocytaire (SAL) équin ou de lapin. Votre médecin pourrait prescrire l'eltrombopag en association avec une GAT et la cyclosporine pour stimuler la production de cellules sanguines dans votre système.

La GAT fonctionne en éliminant certaines cellules du système immunitaire appelées lymphocytes T qui sont responsables de l'attaque sur les cellules souches de la moelle osseuse. Cela permet à votre moelle osseuse de se renouveler en formant d'autres cellules souches hématopoïétiques (à l'origine des cellules sanguines).

La GAT est généralement administrée en perfusion intraveineuse (IV) de 4 à 12 heures par jour sur une période de quatre jours consécutifs (la recommandation médicale peut varier). Le schéma spécifique dépend de vos besoins, du type de GAT utilisé et des protocoles appliqués par votre médecin ou votre hôpital.

La GAT peut provoquer des effets indésirables comme des frissons, de la fièvre, de l'urticaire et des rougeurs, mais ils disparaissent après le traitement. Toutefois, la GAT peut être associée à des effets indésirables moins fréquents et potentiellement plus durables que vous devriez connaître avant de recevoir le traitement :

Traitements de l'anémie aplasique

Traitement immunosuppresseur : Ce traitement sert à moduler le système immunitaire de l'organisme et à l'empêcher de s'attaquer aux cellules souches de la moelle osseuse afin qu'elles croissent et que vos numérations sanguines s'améliorent. Le traitement dure souvent plusieurs mois. Une fois que l'organisme a répondu, le sevrage des médicaments se fait graduellement pour prévenir une récurrence.

Le traitement immunosuppresseur inclut une association de :

1. Globuline antithymocytes (IV) et
2. Cyclosporine (orale) et/ou
3. Corticostéroïdes (oraux). Les corticostéroïdes comme la **méthylprednisolone** (Pr Medrol, Solu-Medrol^{MD}), sont souvent administrés avec d'autres immunosuppresseurs.

- Dans de très rares cas, certains patients peuvent présenter une réaction allergique grave connue sous le nom d'**anaphylaxie** qui peut entraîner une chute de la tension artérielle et une gêne respiratoire. Avant de recevoir un traitement de GAT, vous subirez un test cutané pour vérifier que vous n'êtes pas sujet à ce type de réaction.
- À l'occasion, les patients peuvent présenter la **maladie du sérum**, lors de laquelle le système immunitaire réagit aux protéines « étrangères » de la GAT et provoque des symptômes comme des douleurs articulaires, un érythème cutané, des courbatures et de la fièvre. Cela survient habituellement quelques semaines après le traitement et dure plusieurs jours. Pour prévenir la maladie du sérum, les médecins prescrivent souvent des médicaments comme la prednisone.
- Dans de rares cas, les patients peuvent présenter une **nécrose avasculaire** de la hanche, caractérisée par une baisse de la circulation sanguine vers l'articulation de la hanche. Ce problème se manifeste des mois voire des années après le traitement et peut causer une douleur à l'aîne et des difficultés à la marche. Les médecins restent à l'affût de ce problème; il est donc essentiel d'en signaler les symptômes rapidement.

Efficacité de la GAT :

- Utilisée seule, la GAT améliore les numérations sanguines dans environ 50 % des cas.
- Associée à la cyclosporine, la GAT améliore les numérations sanguines dans environ 70 % des cas.
- Utilisée en association avec la cyclosporine et l'eltrombopag, la réponse médullaire est plus marquée.
- Si le traitement par GAT réussit, il élimine le recours aux transfusions en l'espace de trois à six mois, même si un rétablissement complet peut demander plus d'un an.
- Si un traitement initial par GAT donne des résultats insatisfaisants, votre médecin envisagera d'autres stratégies.

Greffe de cellules souches : Au cours de cette intervention, des cellules souches saines d'un donneur remplacent entièrement les cellules souches de la moelle osseuse du patient. C'est le seul traitement qui peut offrir une chance de guérison complète de l'AA. Néanmoins, elle comporte des risques, des défis substantiels, à commencer par la recherche d'un donneur compatible, essentielle à la greffe.

La greffe de cellules souches est envisagée lorsque l'insuffisance médullaire atteint un point critique et ne s'améliore pas avec le traitement immunosuppresseur ou lorsque l'objectif du traitement est d'essayer d'obtenir une guérison. Pour mieux comprendre en quoi consiste une greffe de cellules souches, adressez-vous à votre hématologue/oncologue. En raison du risque associé à la greffe de moelle osseuse, il faut procéder à des examens approfondis et déterminer la gravité de la

maladie pour confirmer l'admissibilité du patient à cette modalité. Au moment d'envisager de subir une greffe de cellules souches, il est important d'en comprendre aussi les risques : complications, inefficacité et même décès.

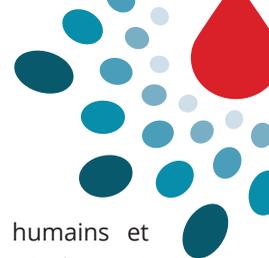
À quoi s'attendre : La greffe de cellules souches est une intervention médicale importante. Elle requiert l'hospitalisation et une série de traitements, incluant la chimiothérapie, l'immunothérapie et possiblement la radiothérapie pour éliminer une importante portion de la moelle osseuse existante, faire de la place pour les cellules souches du donneur et en réduire le risque de rejet. Pendant cette période, il faut rester hospitalisé pour contrer les infections potentielles, et la durée de l'hospitalisation peut varier d'une semaine à parfois plus d'un mois.

Votre médecin injectera les cellules souches saines du donneur dans votre circulation sanguine au moyen d'une perfusion qui ressemble à une transfusion sanguine. Le donneur compatible peut être un membre de votre famille, comme un frère ou une sœur, ou un donneur non apparenté. Quand il est impossible de trouver un donneur entièrement compatible, on peut envisager une compatibilité partielle (ou compatibilité haplo-identique) comme option viable pour plusieurs patients après une préparation appropriée.

Si la greffe réussit, les cellules souches saines nouvellement perfusées migreront vers la moelle osseuse et commenceront un processus d'autoréplication, une phase connue sous le nom de *prise de greffe* qui peut durer jusqu'à un mois. Votre équipe soignante surveillera étroitement vos numérations sanguines pour s'assurer du bon fonctionnement des nouvelles cellules. Si la prise de greffe réussit, les nouvelles cellules saines implantées prendront le contrôle et fabriqueront toutes les cellules sanguines requises, GR, GB et plaquettes.

Risques et effets indésirables : Les greffes de cellules souches comportent des risques significatifs et il est important d'en discuter sérieusement avec le médecin. Le traitement pourrait causer des effets indésirables dus à la chimiothérapie et à la radiothérapie qui peuvent causer des problèmes gastro-intestinaux (nausées et diarrhée), la chute des cheveux et dans de rares cas, une atteinte aux organes internes. Des infections graves peuvent également survenir et nécessiter des transfusions sanguines en raison d'une baisse significative des numérations sanguines.

Dans certains cas, les cellules greffées peuvent déclencher une réaction immunitaire appelée **réaction du greffon contre l'hôte (RGCH)**, potentiellement gravissime. Les symptômes de RGCH vont de légers, comme une éruption cutanée temporaire, à graves, incluant une diarrhée persistante avec atteinte de la paroi intestinale. Il est important de noter que le RGCH peut se manifester même si vous recevez des médicaments (cyclosporine ou autres) dans le but d'en prévenir la survenue.



La probabilité d'une RGCH est plus élevée si vous êtes âgé, si le donneur n'est pas apparenté ou si la compatibilité n'est pas entière entre vous et le donneur.

Autres traitements :

L'anémie aplasique qui résulte d'une radiothérapie ou d'une chimiothérapie utilisées pour le traitement d'un cancer montre habituellement des signes d'amélioration après l'arrêt des traitements. Le même phénomène se produit avec la majorité des autres agents connus pour déclencher l'AA, comme la phénylbutazone, les sulfamidés, le chloramphénicol, la cimétidine, les anticonvulsivants et autres⁹.

Les femmes enceintes chez qui on pose un diagnostic d'AA reçoivent des transfusions sanguines dans le cadre de leur plan de traitement. Dans bien des cas, l'AA liée à la grossesse montre des signes d'amélioration après l'accouchement. Toutefois, si cette amélioration ne se produit pas, il faut maintenir le traitement.

Note : Avant de commencer un nouveau traitement, on conseille aux patients de consulter la monographie du produit et de discuter de ses avantages et de ses inconvénients avec leurs médecins. La monographie de produit énumérera aussi les effets indésirables possibles, les facteurs de risques et autres renseignements dont on doit tenir compte lorsqu'on commence un nouveau traitement.



Études cliniques

Les études cliniques portent sur des sujets humains et permettent d'évaluer l'innocuité et l'impact d'un traitement spécifique. Les résultats des études cliniques pourraient servir à l'approbation des traitements pour les Canadiens ou pour faire une comparaison avec les approches existantes au traitement d'une maladie. Visitez le [site Web](#) du gouvernement du Canada pour en savoir plus au sujet des études cliniques.

Consultez la [page sur les études cliniques](#) du site Web de l'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM) pour des mises à jour sur les plus récentes études sur l'AA et parlez avec votre médecin des études cliniques auxquelles vous pourriez être admissible.

Récidive

Chez les personnes aux prises avec l'AA, l'atteinte médullaire peut persister après le traitement, même si les numérations sanguines reviennent à la normale. Certains patients qui ont été traités efficacement pour l'AA peuvent aussi connaître une récurrence ou une rechute. En général, cette récurrence n'est pas liée à une nouvelle exposition au déclencheur initial de la maladie. Elle est plutôt associée à des facteurs comme la grossesse ou un problème lié au système immunitaire.

Effets indésirables à traiter immédiatement

Durant le traitement de l'AA, communiquez rapidement avec votre médecin ou votre hôpital si vous manifestez l'un ou l'autre des signes suivants :

- Fièvre excédant une seule lecture de 38,3 degrés Celsius (même si elle revient à la normale) et/ou épisode de tremblements incontrôlables
- Ecchymoses ou saignements, comme présence de sang dans l'urine, les selles, la salive, saignement des gencives ou saignement de nez persistant
- Nausées ou vomissements intenses qui nuisent à votre capacité de vous alimenter, de vous hydrater ou de prendre vos médicaments
- Diarrhée grave, constipation ou crampes abdominales
- Toux ou essoufflement
- Rougeurs, démangeaisons ou érythème cutanés d'apparition récente
- Maux de tête persistants
- Nouvel inconfort ou nouvelle douleur à n'importe quel endroit du corps
- Coupure accidentelle ou autre blessure
- Douleur, enflure, rougeur ou pus à n'importe quel endroit du corps

8 | VACCINATIONS



Les personnes atteintes de maladies qui compromettent ou affaiblissent leur système immunitaire, comme l'AA, risquent d'avoir des complications plus graves lors d'infections virales comme la grippe, le rhume banal ou la COVID-19. Les vaccins antigrippaux saisonniers sont conçus pour conférer une protection contre des virus spécifiques de la grippe qui, selon la recherche, devraient circuler durant la saison froide.

Le débat continue sur le bien-fondé de la vaccination antigrippale chez les personnes atteintes d'AA; il est donc essentiel d'en parler avec votre médecin avant de décider si cela vous convient. Une évaluation individualisée du risque vous aidera à prendre une décision éclairée.

En théorie, il y a un risque de récurrence de l'AA ou de déclin des numérations sanguines après n'importe quelle vaccination, surtout contre la grippe. Toutefois, il est important de noter que les données disponibles sont limitées et qu'elles reposent surtout sur des rapports anecdotiques. On sait aussi que les infections virales peuvent jouer un rôle significatif dans l'AA elle-même. Avant de prendre un vaccin antigrippal il faut discuter avec votre médecin et peser le pour et le contre. Les patients qui ont déjà reçu une greffe de cellules souches hématopoïétiques forment l'exception. Pour ces personnes, il est à conseiller de suivre le calendrier de vaccination recommandé, qui est la norme de pratique pour tous les patients après la greffe.

9 | PRISE EN CHARGE DE LA MALADIE

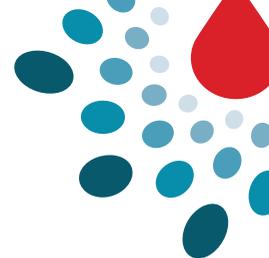


Pour gagner un certain contrôle sur la prise en charge de votre AA en notant vos symptômes et les progrès associés aux traitements, essayez d'utiliser les ressources suivantes fournies par l'**Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM)** et l'**Aplastic Anemia and MDS International Foundation (AAMDSIF)** :

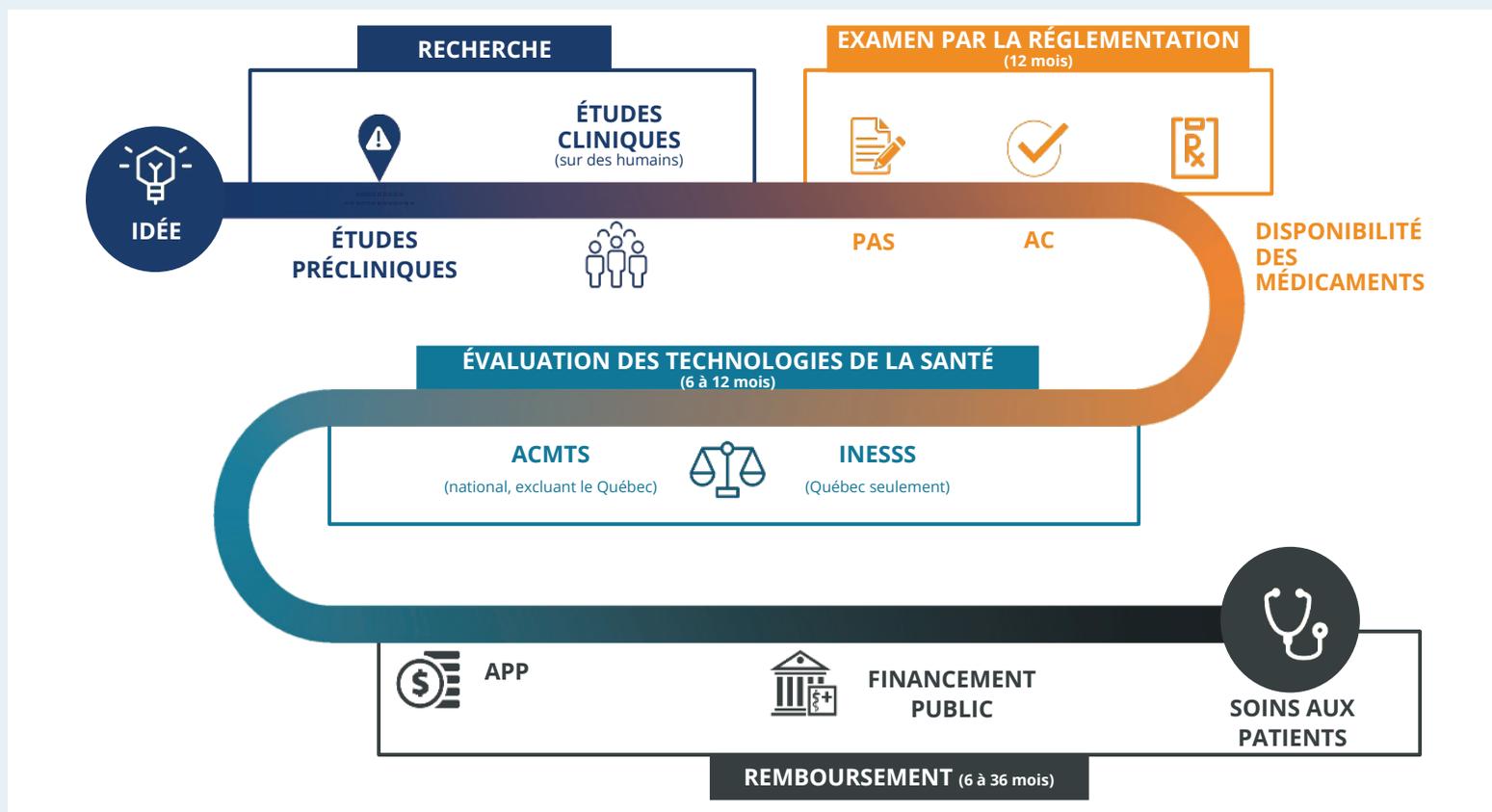
1. [Carnet de route](#)
2. [Carnet de rendez-vous](#)
3. Carnet de transfusions sanguines
4. Carnet des symptômes
5. Dossier des transfusions plaquettaires
6. Mon équipe soignante
7. [Carte pour les services d'urgence](#)

Vivre avec une maladie comme l'AA pose plusieurs défis; vous aurez de bonnes et de moins bonnes journées. Durant votre périple avec l'AA, vous découvrirez qu'un bon niveau de connaissances allié à l'appui adéquat des experts de votre équipe soignante, de votre famille et de vos amis fera toute la différence dans votre bien-être et votre qualité de vie.

10 | ACCÈS AUX TRAITEMENTS AU CANADA



Processus d'approbation et de financement public des traitements au Canada



Source: EVERSANA

Examen par les instances de réglementation

Pour qu'un médicament soit offert aux Canadiens, Santé Canada (un ministère du gouvernement du Canada) doit d'abord l'approuver aux plans de l'innocuité, de l'efficacité et de la qualité. Dans le cadre de ce processus d'examen, Santé Canada analyse diverses données scientifiques, y compris celles des études cliniques, pour évaluer les avantages et risques potentiels du médicament. Une fois approuvé, le médicament recevra un numéro **DIN (numéro d'identification du médicament)** et un **avis de conformité (AC)**. L'AC permet

ensuite à l'entreprise pharmaceutique de commercialiser et de vendre ce médicament au Canada et aux professionnels de la santé qualifiés de le prescrire.

Pour plus de renseignements, consultez la page [Comment les médicaments sont examinés au Canada](#).

Programme d'accès spécial

Dans les cas de maladie grave ou menaçant le pronostic vital, si les traitements classiques se sont révélés inefficaces, s'ils ne conviennent pas, ne sont pas disponibles ou offrent des

choix limités, un médecin peut adresser au nom du patient une demande d'accès à un médicament qui n'a pas encore été approuvé par Santé Canada. Ces demandes sont adressées au [Programme d'accès spécial \(PAS\)](#) du Programme des produits thérapeutiques de Santé Canada. Si la demande est approuvée, le PAS autorise la remise du médicament au médecin qui l'administre au patient. Même si une demande au PAS est agréée et permet l'entrée au pays d'un médicament non approuvé, cela ne dit pas qui en assumera le coût.

Pour plus de renseignements, consultez la page [Programme d'accès spécial de Santé : Demander un médicament](#).

Évaluation des technologies de la santé (ÉTS)

L'évaluation des technologies de la santé (ÉTS) est le processus par lequel une technologie de la santé ou un traitement est évalué pour en déterminer la valeur et la façon dont il devrait être utilisé par le système de santé. Au Canada, nous avons deux instances : l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé (ACMTS) et l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS).

ACMTS

L'ACMTS est l'agence nationale (excluant le Québec) qui formule des recommandations aux régimes d'assurance médicaments publics du Canada lorsque vient le temps de financer ou non un médicament particulier à même les fonds publics. Pour ce faire, elle procède à un examen en vue du remboursement, qui est une évaluation complète de l'efficacité clinique et de la rentabilité d'un traitement en tenant compte du point de vue des patients et des médecins. Même si ces examens sont non contraignants pour les régimes d'assurance publics, ils contribuent à guider les décisions finales de remboursement aux échelons fédéral, provincial et territorial.

Pour plus de renseignements, consultez le site Web de [l'ACMTS](#).

CONTRIBUTION DES PATIENTS ET DES MÉDECINS : Un élément vital des processus d'examen de l'ACMTS et de l'INESSS est le point de vue des patients, des aidants et des médecins. L'ACMTS et l'INESSS font appel aux organisations de patients et de médecins (pour l'INESSS, des individus peuvent aussi soumettre des commentaires) au moment de procéder aux examens en vue d'un remboursement. Les groupes de patients et de médecins sont encouragés à partager leurs expériences et points de vue sur la maladie, les traitements existants, y compris l'agent qui fait l'objet d'un examen, de même que leurs réflexions sur les besoins que le médicament examiné pourrait combler. Ensemble, les contributions des patients, des aidants et des médecins servent de complément à l'examen des deux agences.

L'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM) participe aux examens des technologies de la santé qui ciblent l'anémie aplasique, les syndromes myélodysplasiques et l'hémoglobininurie paroxystique nocturne.

Pour plus de renseignements, consultez la page de l'ACMTS sur la [Rétroaction des groupes de patients](#).

Pour plus de renseignements, consultez la page de l'ACMTS sur la [Rétroaction des groupes de médecins](#).

Pour plus de renseignements, consultez la page de l'INESSS sur la [Rétroaction du public](#).

INESSS

L'INESSS est l'agence provinciale québécoise qui formule des recommandations au ministre de la Santé et des Services sociaux en ce qui a trait au remboursement ou non d'un médicament particulier à même les fonds publics. Les examens menés par l'INESSS portent sur la valeur thérapeutique du médicament, sur sa rentabilité (comparativement à d'autres options médicamenteuses), sur les besoins qu'il peut combler et son impact sur le budget de la santé. Même si elles sont également non contraignantes, les recommandations de l'INESSS jouent un rôle crucial dans l'orientation des décisions finales du gouvernement du Québec relativement au remboursement des médicaments.

Pour plus de renseignements, consultez le site Web de [l'INESSS](#).

Remboursement des médicaments :

L'étape finale pour accéder aux traitements au Canada par le biais des régimes publics comporte deux volets : l'Association pharmaceutique pancanadienne (APP) et les Ententes d'inscription de produits.

L'APP est responsable des négociations mixtes fédérales, provinciales et territoriales au cours desquelles les juridictions membres discutent avec les fabricants de médicaments du bien-fondé du remboursement d'un médicament en particulier à même les fonds publics, à quel coût et selon quels critères. Si la négociation aboutit, une Lettre d'intention est émise. Une compagnie pharmaceutique adresse alors la lettre d'intention à chacun des régimes publics d'assurance médicaments au Canada et l'utilise comme base pour la finalisation d'une Entente d'inscription du produit – une entente juridiquement contraignante qui permettra l'accès à ce traitement dans cette juridiction par le biais de son régime d'assurance public.

Pour plus de renseignements, consultez le site Web de [l'APP](#).



Mécanismes formels et informels de défense des intérêts pour favoriser l'accès aux traitements

Partout au pays, de nombreux regroupements de patients comme l'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM) défendent les intérêts des communautés qu'ils desservent, comme l'accès aux traitements. Plusieurs offrent la possibilité aux gens de partager leurs expériences et leurs opinions à mesure que les traitements franchissent les étapes de l'approbation et du remboursement au Canada. Ce type d'engagement peut se faire sous la forme de démarches formelles ou informelles.

Dans le cadre du processus structuré d'approbation des médicaments susceptibles d'être remboursés par les régimes publics, les seules possibilités formelles de contribution des patients, des aidants et des médecins sont auprès de l'ACMTS et de l'INESSS. En plus de cette approche formelle à la défense des intérêts, des personnes et des groupes ou organisations qui les représentent peuvent se faire entendre de diverses façons lorsqu'il est question de l'accès aux traitements. Parmi ces approches informelles, mentionnons les rencontres avec des élus et des administrateurs, les campagnes d'envoi de lettres, les pétitions et les campagnes auprès des médias sociaux.

Pour plus de **renseignements sur la promotion de l'accès aux traitements**, n'hésitez pas à communiquer avec l'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM), à l'adresse info@aamac.ca, ou au numéro 1 888 840-0039.

11 | REMERCIEMENTS



L'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie (ACAAM) tient à souligner la contribution de la D^e Lin Yang, M.D., Ph.D., hématologue, CancerCare Manitoba et professeure adjointe au Département de médecine interne, Section hématologie/oncologie, Université du Manitoba, pour sa révision médicale et générale de ce document.

Nous tenons également à exprimer notre gratitude à la personne qui représente les patients desservis par l'ACAAM et EVERSANA pour leur contribution à la préparation de ce document.

12 | ANNEXES

Recevoir un diagnostic de maladie complexe comme l'AA peut donner tout un choc et la courbe d'apprentissage est abrupte. Pour vous préparer à vos rendez-vous médicaux, voici quelques exemples de questions à poser à votre médecin si elles n'ont pas encore été abordées.

Points à clarifier avec votre médecin à toutes les étapes de votre périple avec l'AA.

Noter : Ces listes s'inspirent de documents de l'[ACAAM](#) et de l'[AAMDSIF](#).



Points à clarifier avec votre médecin au moment du diagnostic

- 1 Pouvez-vous m'expliquer ce qu'est l'anémie aplasique (AA)? Est-ce comme le cancer?
- 2 À quel point êtes-vous certain du diagnostic d'AA?
- 3 Combien de temps faut-il pour recevoir un diagnostic définitif de la maladie?
- 4 Quels sont les facteurs responsables de cette maladie?
- 5 La maladie est-elle mortelle? Quelle est l'espérance de vie prévue? Quel est mon pronostic?
- 6 Y a-t-il une façon de guérir ou de traiter l'anémie aplasique? La rémission est-elle possible?
- 7 L'AA est-elle héréditaire? Y a-t-il des conséquences à long terme de l'AA que je devrais connaître?
- 8 Selon les renseignements que j'ai obtenus, l'AA serait une maladie auto-immune. Y a-t-il un lien avec d'autres maladies, comme le lupus, la polyarthrite rhumatoïde ou la maladie de Crohn, qui sont présentes dans ma famille?
- 9 Je sais que l'anémie aplasique ou l'anémie aplasique grave signifie que mon système immunitaire est affaibli, mais qu'est-ce que cela veut dire au juste?
- 10 Quels professionnels de la santé devraient faire partie de mon équipe soignante? Y a-t-il des spécialistes ou dois-je me tourner vers mon médecin de soins primaires?
- 11 Est-ce que d'autres tests seront nécessaires? À quelle fréquence faut-il prévoir les biopsies de moelle osseuse?
- 12 Quelle est la gravité de mon type spécifique d'AA?
- 13 Que dois-je faire pour avoir un deuxième avis médical?
- 14 L'AA peut-elle être confondue avec d'autres problèmes de santé ou maladies?
- 15 Comment l'AA affectera-t-elle ma qualité de vie en général?
- 16 Quelle est la portée des baisses de numérations sanguines et à quel moment l'AA devient-elle grave? Que signifient mes numérations sanguines (Hg, GB, neutrophiles, plaquettes)?
- 17 Certains facteurs pourraient-ils influencer sur mon pronostic ou mes options thérapeutiques?
- 18 Est-ce que je peux voyager par avion au Canada et à l'étranger?
- 19 Est-ce que je devrais utiliser un masque?
- 20 Que faire si je contracte la grippe ou d'autres maladies durant mon traitement?
- 21 Les vaccins contre la COVID-19, la grippe et la pneumonie sont-ils sécuritaires pour moi?
- 22 Existe-t-il des documents écrits ou d'autres ressources au sujet de l'AA?
- 23 Y a-t-il de nouveaux traitements ou médicaments à l'horizon?



Points à clarifier avec votre médecin au moment de choisir un traitement

- 1 Dites-m'en plus sur le traitement habituel pour l'AA (GAT, cyclosporine, prednisone, Valtrex^{MD}). Quel traitement me recommandez-vous et pourquoi?
- 2 Quels sont les effets indésirables des traitements? À quel moment se manifestent-ils habituellement?
- 3 Comment gère-t-on ces effets indésirables?
- 4 Dois-je subir d'autres tests avant que l'on puisse choisir le traitement? Y a-t-il des tests génétiques que je devrais subir avant le traitement? Pouvez-vous m'expliquer ces types de tests?
- 5 À quel moment dois-je commencer le traitement?
- 6 Quelle est votre expérience avec le traitement de l'AA?
- 7 Que dois-je faire pour me préparer au traitement?
- 8 Combien de temps le traitement durera-t-il? À quoi cela ressemblera-t-il? Est-ce que cela fait mal? Est-ce que j'aurai des nausées? Où me sera-t-il administré? Devrai-je être hospitalisé?
- 9 Combien faut-il de temps pour que le traitement agisse? Est-ce que je verrai des améliorations notables ou devrai-je me fier aux résultats d'analyses de laboratoire pour connaître l'efficacité du traitement?
- 10 Quels sont les risques ou les effets indésirables des traitements que vous recommandez? Combien de temps risquent-ils de durer?
- 11 Suis-je candidat à la greffe (selon le cas)? Quels sont les effets indésirables et les risques?
- 12 Pouvez-vous m'expliquer la dépendance aux transfusions durant le traitement?
- 13 À quelle fréquence aurai-je besoin de transfusions sanguines et est-il recommandé de surveiller mes résultats de FSC?
- 14 Dois-je me faire accompagner lors des transfusions sanguines?
- 15 Est-ce que je serai apte à conduire pour retourner chez moi après une transfusion sanguine?
- 16 À quel moment pourrai-je cesser les transfusions sanguines?
- 17 Pouvez-vous m'expliquer la distinction entre la GAT équine et la GAT de lapin? L'une est-elle plus efficace que l'autre?
- 18 Devrais-je subir d'autres tests avant de commencer le traitement par GAT?
- 19 Quelle est la durée des séances de traitement par GAT et où les administre-t-on? Devrai-je être hospitalisé?
- 20 Quels sont les avantages et les inconvénients du traitement par GAT?
- 21 Est-ce que je vais perdre mes cheveux avec le traitement par GAT?
- 22 Le traitement par GAT affecte-t-il la fertilité? Les patients jeunes doivent-ils envisager la congélation de leurs ovules ou de leur sperme avant un traitement? Y a-t-il des problèmes de sécurité ou d'innocuité dont je devrais être au courant si j'envisage une grossesse?
- 23 Comment le traitement est-il administré? Faut-il installer un cathéter à demeure? Faut-il procéder à une insertion chirurgicale du cathéter à demeure?
- 24 Quelles sont les solutions de rechange si le traitement par GAT n'agit pas?
- 25 Quelles sont les conséquences de refuser le traitement par GAT pour ma maladie?
- 26 Pouvez-vous m'expliquer la distinction entre la cyclosporine et l'eltrombopag? Est-il nécessaire d'utiliser les deux?
- 27 Le schéma d'association par GAT, cyclosporine et eltrombopag que vous recommandez est-il couvert par mon assurance santé?
- 28 Remettez-vous à vos patients des documents écrits qui expliquent en quoi consiste le traitement de GAT proposé?
- 29 Y a-t-il des aliments que je devrais éviter ou dont je devrais réduire la consommation? Que proposez-vous au sujet de la prise d'alcool?
- 30 Y a-t-il des études cliniques dont je devrais connaître l'existence avant de décider de prendre un traitement standard?
- 31 À quelle distance se trouve le centre de recherche? Je suis capable (ou incapable) de me déplacer loin pour une étude clinique.
- 32 Est-ce que je serai traité différemment si je m'inscris à une étude clinique?



Points à clarifier avec votre médecin durant le traitement

- 1 J'ai actuellement des problèmes importants de nausées, de fatigue et de plaies à la bouche. Quelles stratégies pouvez-vous me suggérer pour mieux gérer ces symptômes?
- 2 Comment saurons-nous si le traitement agit?
- 3 À quoi ressemblera mon schéma thérapeutique post-GAT, y compris les médicaments comme la cyclosporine et l'eltrombopag?
- 4 Quelle est la durée recommandée du régime alimentaire neutropénique?
- 5 Quels sont les suppléments spécifiques à envisager pour soutenir mon système immunitaire?
- 6 Quels signes dois-je surveiller pour détecter une récurrence potentielle de ma maladie?
- 7 Quelles approches sont disponibles pour le traitement des récurrences?
- 8 À quelle fréquence devrai-je subir des examens et des tests médicaux de suivi?
- 9 Quelles sont les limites à mes activités? Quelle est l'intensité des exercices que je peux faire et à quelle fréquence? À quel moment pourrai-je revenir à mes activités régulières, y compris les exercices et le travail?
- 10 Est-ce que je vais rester immunodéprimé définitivement à moins de recevoir une greffe?
- 11 Est-ce que je devrai faire l'objet d'une surveillance toute ma vie pour détecter d'autres types d'insuffisances médullaires comme un SMD ou l'HPN?
- 12 Si je continue de dépendre des transfusions, est-ce que je dois envisager un second traitement par GAT?
- 13 Pourquoi recommandez-vous une greffe de moelle osseuse plutôt que des médicaments?
- 14 Comment procède-t-on pour trouver un donneur en vue de la greffe?
- 15 Dois-je encourager mes amis et mes proches à subir un test pour vérifier leur compatibilité? Où peuvent-ils subir ces tests?
- 16 Pouvez-vous m'expliquer comment s'effectue la greffe?
- 17 Est-ce que je devrai recevoir de la chimiothérapie pour me préparer à la greffe et quels sont les effets indésirables potentiels auxquels je dois me préparer?
- 18 Quelle sera la durée de mon séjour à l'hôpital?
- 19 Aurai-je besoin d'avoir de l'aide pendant le processus de la greffe et ma convalescence?
- 20 Est-ce que je dois réfléchir aux questions de fertilité avant la greffe?
- 21 Quels sont les risques et avantages potentiels associés à la greffe dans mon cas précis?
- 22 Pouvez-vous m'expliquer ce qu'est la réaction du greffon contre l'hôte (RGCH)?
- 23 Quelle est la probabilité que je développe une RGCH?
- 24 Comment la RGCH est-elle traitée en général et est-il possible de la guérir?
- 25 Quels sont les symptômes ou effets indésirables que je dois vous signaler sans délai?
- 26 Si le traitement ne réussit pas, quelles solutions de rechange me sont offertes?



Autres formes de soutien

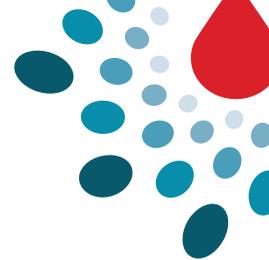
- 1 Vers quelles autres formes de soutien me suggérez-vous de me tourner?
- 2 Y a-t-il des personnes atteintes de la maladie à qui je peux parler?
- 3 Avez-vous de la documentation écrite?
- 4 Connaissez-vous un professionnel en santé mentale que moi-même ou mes proches pourrions consulter pour mieux composer avec ce diagnostic? Où puis-je trouver plus de renseignements et de soutien?



Conseils précieux

- 1 Munissez-vous d'un papier et d'un crayon et écrivez vos questions.
- 2 En général, le médecin rédige une note sommaire à chaque consultation. Il n'est pas nécessaire d'enregistrer la consultation si le médecin se trouve dans l'impossibilité de le faire, mais avec sa permission, vous pourriez l'enregistrer au moyen d'un appareil électronique si vous craignez de ne pas retenir toute l'information.
- 3 Nous vous recommandons de vous faire accompagner par un membre de votre famille ou un ami à chacune des consultations car il est parfois difficile de se rappeler de tout ce qui s'est dit.
- 4 Trouvez un pair aidant qui a reçu le diagnostic d'AA et comprend ce que vous traversez – demandez à votre médecin ou recherchez des groupes en ligne : vous n'êtes pas seul.

13 | REFERENCES



1 Pancytopenia. St. Jude Children's Research Hospital. (n.d.). <https://www.stjude.org/disease/pancytopenia.html>

2 Papagiannopoulos, C., Salvador Ordoño, M., & Gonçalves, E. Severe aplastic anemia: A systematic literature review on costs of illness. American Society of Hematology. Le 15 novembre 2022. <https://ashpublications.org/blood/article/140/Supplement%201/10774/490092/Severe-Aplastic-Anemia-A-Systematic-Literature>

3 Organisation mondiale de la santé. (n.d.). Sepsis. <https://www.who.int/fr/news-room/fact-sheets/detail/sepsis>

4 Xu, M., Liu, T., Ye, M., Tan, X., & Sun, Q. Quality of life scale for patients with aplastic anemia: PPA. Patient Preference and Adherence. Le 19 juillet 2023. <https://www.dovepress.com/the-use-of-an-iterative-strategy-of-cognitive-interview-and-expert-con-peer-reviewed-fulltext-article-PPA>

5 Papagiannopoulos, C., Salvador Ordoño, M., & Gonçalves, E. Severe aplastic anemia: A systematic literature review on costs of illness. American Society of Hematology. Le 15 novembre 2022. <https://ashpublications.org/blood/article/140/Supplement%201/10774/490092/Severe-Aplastic-Anemia-A-Systematic-Literature>

6 Pickard, A. S., Huynh, L., Ivanova, J. I., Totev, T., Graham, S., Mühlbacher, A. C., Roy, A., & Duh, M. S. Value of transfusion independence in severe aplastic anemia from patients' perspectives – A discrete choice experiment - journal of patient-reported outcomes. SpringerOpen. Le 1er mars 2018. <https://jpro.springeropen.com/articles/10.1186/s41687-018-0032-y>

7 U.S. National Library of Medicine. (n.d.). Hemolytic transfusion reaction: Medlineplus medical encyclopedia. MedlinePlus. <https://medlineplus.gov/ency/article/001303.htm>

8 UpToDate. (n.d.). <https://www.uptodate.com/contents/transfusion-associated-circulatory-overload-taco>

9 Aplastic anemia guide: Causes, symptoms and treatment options. Drugs.com. (n.d.). <https://www.drugs.com/health-guide/aplastic-anemia.html>

Cette publication a été rendue possible grâce au soutien de

abbvie

ALEXION[®]
AstraZeneca Rare Disease


TAIHO
PHARMA CANADA, INC.

 NOVARTIS

 Bristol Myers Squibb[®]

Roche


REGENERON
SCIENCE TO MEDICINE[®]

 sobi
rare strength



L'Association canadienne de l'anémie aplasique et de la myélodysplasie est là pour vous et comprend ce que vous traversez à toutes les étapes de votre maladie.

Visitez-nous à l'adresse :

Site Web -

<https://aamac.ca/>

Réseaux sociaux :

[Facebook](#) [X](#) [LinkedIn](#) [Instagram](#)

Communiquez avec nous :

Courriel : info@aamac.ca

Téléphone : 1 888 840-0039