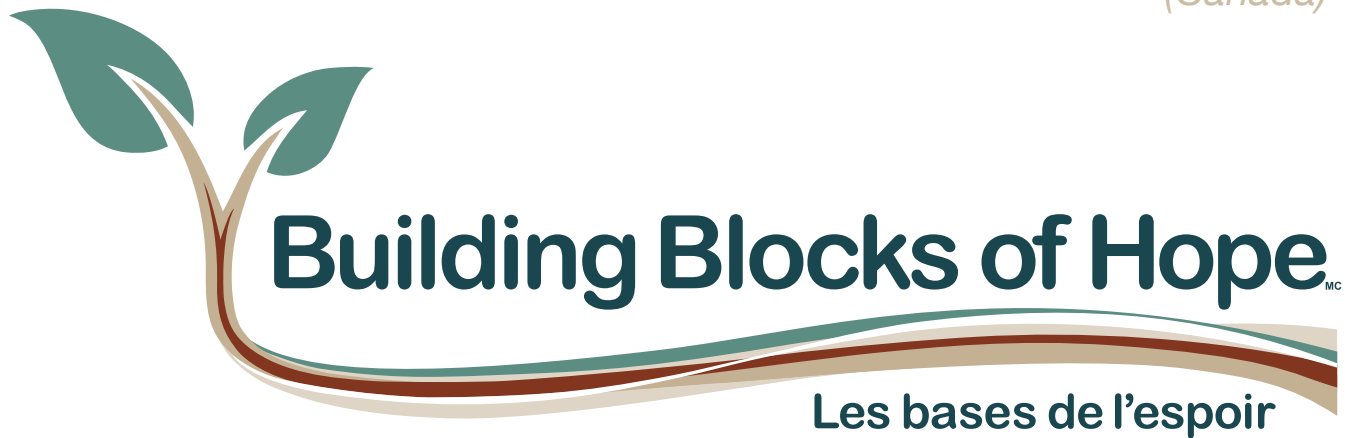


French Edition

(Canada)



**Stratégies pour aider
les patients et leurs aidants à
VIVRE avec le SMD**

par Sandra Kurtin

Initiative internationale de la MDS Foundation pour la défense des intérêts des patients en versions imprimée et en ligne sous forme de programme éducatif personnalisé à l'intention des patients et de leurs aidants, afin qu'ils se préparent, s'impliquent et **VIVENT** avec le SMD.

Adaptation canadienne

Cindy Murray
Nicole Crisp
Lea Harrison
Sandra Kurtin

 **mds** foundation
the myelodysplastic syndromes foundation, inc.
Publié par la Myelodysplastic Syndromes Foundation, Inc.

Vous ou quelqu'un de votre entourage venez de recevoir un diagnostic de SMD. La simple mention des mots syndrome myélodysplasique ou SMD peut susciter de la peur. Le diagnostic de SMD est souvent inattendu et comporte de nombreux défis à court et à long termes. Vous avez sûrement beaucoup de questions. Nous sommes heureux que vous ayez demandé un exemplaire de la brochure *Les bases de l'espoir*. Cette brochure est conçue pour vous aider à trouver l'information que vous cherchez et à jouer un rôle actif dans votre périple avec le SMD.

Le document *Les bases de l'espoir* comporte différents chapitres ou onglets:

- **Onglet 1 – Comprendre le SMD:** Description complète du processus pathologique du SMD et réponse aux questions fréquentes.
- **Onglet 2 – Recherche de traitements:** Le traitement du SMD peut varier selon le type de SMD dont vous souffrez et selon sa gravité. Cette section fournit des détails au sujet des diverses approches au traitement.
- **Onglet 3 – Conseils pratiques:** Les conseils pratiques offerts dans cette section incluent des lignes directrices pour la surveillance et la gestion de vos symptômes.
- **Onglet 4 – Surcharge ferrique:** La surcharge ferrique peut être une conséquence des transfusions de culots globulaires administrés à répétition. Cette section répond aux questions les plus fréquentes, notamment sur le traitement de la surcharge ferrique.
- **Onglet 5 – Mon plan SMD:** Comprendre le diagnostic de SMD vous aidera, vous et vos aidants, à jouer un rôle actif dans votre plan de traitement individuel. *Mon plan SMD* propose plusieurs outils (questionnaires et tableaux) pour vous permettre de suivre et de gérer votre périple. Vous souhaiterez peut-être faire quelques copies supplémentaires de certains de ces outils avant de commencer à y répondre pour pouvoir continuer de suivre vos progrès.
- **Onglet 6 – La MDS Foundation:** La MDS Foundation est un organisme international subventionné à même les fonds publics qui se consacre aux patients atteints de SMD, à leurs aidants et aux professionnels qui travaillent à améliorer la vie des patients aux prises avec un SMD. La MDS Foundation offre plusieurs ressources qui soutiennent le programme *Les bases de l'espoir*.

À l'origine, le programme *Les bases de l'espoir*, a été conçu aux états-unis; il a ensuite été adapté pour différentes régions du monde, y compris pour le Canada. Vous en avez reçu l'adaptation canadienne. Vous pouvez aussi consulter *Les bases de l'espoir* en version originale en ligne, à l'adresse <http://buildingblocksofhope.com>.

Accordez-vous le temps de vous adapter à votre diagnostic de SMD. Prenez le temps d'explorer la brochure *Les bases de l'espoir*. Nous vous souhaitons le meilleur périple possible et nous espérons que le programme *Les bases de l'espoir* vous offrira, à vous et à vos proches, les outils et les stratégies qui vous aideront à VIVRE avec le SMD.

La MDS Foundation

1 800 MDS-0839 (aux États-Unis seulement)

1 609 298-1035 (à l'extérieur des États-Unis)

1 609 298-0590 télécopieur

site Web: www.mds-foundation.org

courriel: patientliaison@mds-foundation.org

COMPRENDRE LE SMD

Les syndromes myélodysplasiques forment un groupe de maladies appelées insuffisances de la moelle osseuse. Il existe plusieurs types de SMD. Le déclenchement de la maladie, son pronostic, les options thérapeutiques et le risque d'évolution vers une leucémie varient selon chaque type de SMD. Comprendre le SMD, le premier chapitre de la brochure

Les bases de l'espoir, propose une description de ce qui se produit dans la moelle osseuse normale lorsqu'un SMD se développe et explique les symptômes susceptibles d'en résulter. On y trouve également des détails sur la façon de diagnostiquer le SMD et d'en déterminer le type. Comprendre votre diagnostic de SMD vous aidera, vous et vos aidants, à jouer un rôle actif dans votre plan de traitement individuel.

collaborateurs à la rédaction

John Bennett
Peter Greenberg
Rami Komrokji
Sandra Kurtin
Alan List

COMPRENDRE LE SMD

| | |
|---|----|
| Qu'est-ce que le SMD? | 3 |
| Le SMD est-il un cancer? | 3 |
| Qu'est-ce qui cause le SMD? | 4 |
| Que fait la moelle osseuse? | 5 |
| Quels sont les symptômes du SMD? | 6 |
| Ponction et biopsie de moelle osseuse | 7 |
| Qu'arrive-t-il à la moelle osseuse dans le SMD? | 9 |
| Tests cytogénétiques et moléculaires pour le SMD | 11 |
| Comment classe-t-on le SMD? | 13 |
| Quelle est la gravité de mon SMD? | 15 |
| Système international de classification pronostique révisé (IPSS-R) | 16 |

Qu'est-ce que le SMD? Le SMD est-il un cancer?

Qu'est-ce que le SMD?

Définition: Les syndromes myélodysplasiques (SMD) forment un groupe de maladies appelées insuffisances de la moelle osseuse (ou médullaires). Il en existe plusieurs sous-types, qui varient tous au plan du développement, du pronostic, du traitement et du risque d'évolution vers la leucémie.

Qu'arrive-t-il?

La moelle osseuse est l'« usine » qui fabrique les cellules sanguines, dont les globules rouges, les globules blancs et les plaquettes. La moelle osseuse est un organe très complexe doté de plusieurs composantes et responsable de plusieurs processus fonctionnels (voir: *Que fait la moelle osseuse?*).

Les anomalies de la moelle osseuse dans le SMD

Dans le SMD, la moelle osseuse ne fabrique plus les cellules sanguines normalement en raison d'un certain nombre de problèmes possibles, notamment:

Dysplasie: anomalies de la forme et de l'aspect (morphologie) des cellules

Anomalies chromosomiques: aussi connues sous le nom d'anomalies cytogénétiques

Anomalies du microenvironnement, ou système de soutien, de la moelle osseuse

Anomalies moléculaires affectant les cellules ou le microenvironnement

Il en résulte que les cellules se retrouvent en nombre insuffisant (baisse des numérations ou encore, cytopénies) et qu'elles sont dysfonctionnelles.

Les cytopénies les plus courantes sont, notamment:

Anémie: faible numération de globules rouges (cellules qui transportent l'oxygène)

Thrombocytopénie: faible numération des plaquettes (cellules qui participent à la coagulation du sang)

Leucopénie: faible numération des globules blancs (cellules qui aident à lutter contre l'infection)

Neutropénie: faible numération des neutrophiles (type de globules blancs le plus important pour la lutte contre l'infection)

Le SMD est-il un cancer?

Pour poser un diagnostic de SMD, il faut effectuer une ponction et biopsie de moelle osseuse (voir: *Ponction et biopsie de moelle osseuse*). Ce sont des anatomopathologistes spécialistes des maladies du sang (hématopathologistes) qui analysent les échantillons.

Il faut observer des caractéristiques de malignité spécifiques pour pouvoir poser un diagnostic de SMD, par exemple, dysplasie ou anomalie cytogénétique. La recherche récente a mis au jour certaines anomalies moléculaires qui joueraient un rôle dans l'apparition du SMD. Compte tenu des caractéristiques de malignité sous-jacentes requises pour le diagnostic de SMD, on le considère comme une forme de cancer du sang.

Dans la moelle osseuse, l'incapacité de fabriquer des cellules saines à maturité est un processus graduel. Par conséquent, le SMD n'est pas nécessairement une maladie fatale, mais certains patients succombent effectivement aux effets directs de la maladie, de l'insuffisance médullaire et des cytopénies. De plus, pour environ 30 % des patients qui reçoivent un diagnostic de SMD, ce syndrome d'insuffisance médullaire progressera vers une leucémie myéloïde aiguë (LMA).



moelle osseuse normale



moelle osseuse anormale avec
cellules sanguines dysplasiques et
chromosomes anormaux

Qu'est-ce que
le SMD?



Références:

Bejar, R., Levine, R. et Ebert, B.L. (2011) Unraveling the molecular pathophysiology of Myelodysplastic Syndromes. *Journal of Clinical Oncology*, 29, 504-515.
Kurtin, S.E., Demakos, E., Hayden, J. et Boglione, C. (2012) Initial treatment of Myelodysplastic Syndromes: Practical tools and effective management. *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 16 (3, suppl.1), 23-35.

Qu'est-ce qui cause le SMD?

Chez plus de 80 % des patients qui reçoivent un diagnostic de SMD, on en ignore la cause. Que savons-nous des tendances propres aux patients qui reçoivent un diagnostic de SMD?

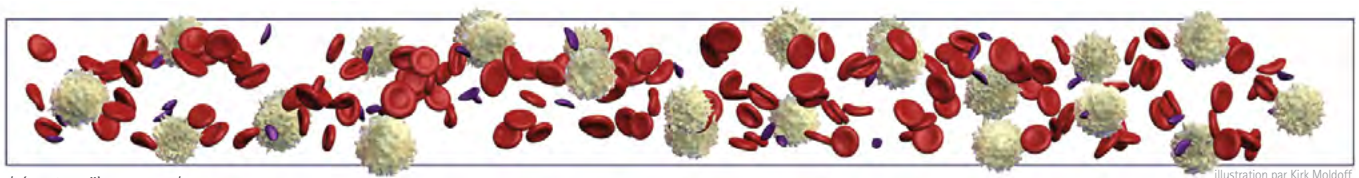
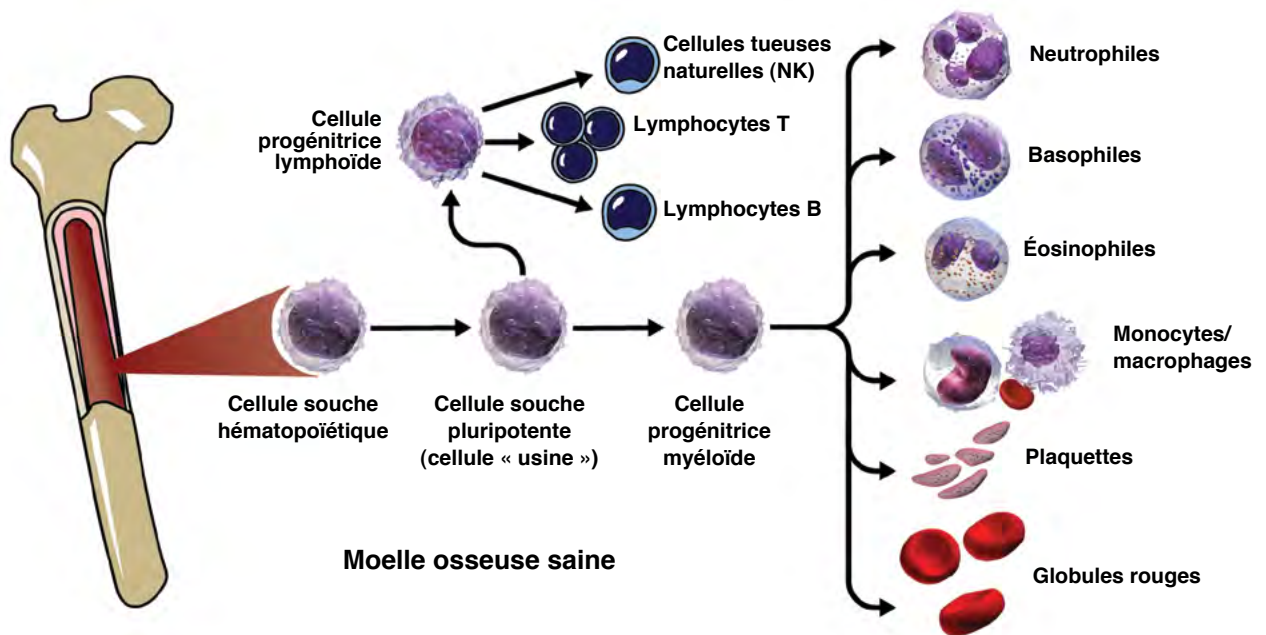
- 1. Le SMD est plus fréquent chez l'homme (rapport hommes:femmes 4,5:2 par 100 000)**
 - a. Comme avec de nombreux types de cancers, l'âge plus avancé est un facteur prédisposant. L'âge moyen des patients atteints de SMD est de 73 ans et 86 % des patients qui en souffrent ont plus de 60 ans.
- 2. Une exposition à des substances chimiques et à d'autres toxines accroît le risque de souffrir de SMD**
 - a. Exposition chronique et importante aux benzènes, à d'autres solvants, à des insecticides ou des herbicides
Alors que par le passé, il y a plus de 25 ans, des cas de SMD/LMA induits par le benzène dans l'industrie pétrochimique étaient rapportés, aucun signalement de ce type n'a été publié dans la littérature récente.
 - b. Aucun aliment connu ne causerait le SMD.
 - c. Même si la consommation d'alcool sur une base quotidienne peut réduire les numérations de globules rouges et de plaquettes, l'alcool ne causerait pas le SMD.
 - d. La consommation de produits du tabac a été liée à l'apparition du SMD. L'une des principales composantes du tabac est le benzène. Le benzène est très étroitement réglementé par les agences fédérales. Il existe des lignes directrices publiées au sujet des limites d'exposition
- 3. Les patients qui reçoivent certains types de chimiothérapie ou de radiothérapie pour d'autres cancers peuvent être plus à risque à l'égard d'un SMD induit par les traitements.**
 - a. Les patients soumis à des traitements de chimiothérapie ou de radiothérapie pour des cancers curables, comme le cancer du sein ou des testicules, la maladie de Hodgkin et le lymphome non hodgkinien, demeurent exposés à un risque à l'égard du SMD pendant une période allant jusqu'à dix ans suivant leur traitement. Le SMD qui se manifeste après l'utilisation d'une chimiothérapie ou d'une radiothérapie contre le cancer est appelé « SMD secondaire » et il est généralement associé à plusieurs anomalies chromosomiques affectant les cellules de la moelle osseuse. Ce type de SMD est souvent plus difficile à traiter et a davantage tendance à se transformer en LMA.

Le SMD est-il héréditaire? Puis-je transmettre le SMD à mes proches?

1. Il est rare d'observer une prédisposition génétique héréditaire à l'égard du SMD et des anomalies congénitales. Par conséquent, le risque de transmettre le SMD à ses enfants ou ses petits-enfants est extrêmement faible.
2. Le SMD n'est pas contagieux. Les patients et leurs proches craignent souvent que le SMD soit contagieux. Rien n'indique qu'un virus puisse causer le SMD. Ainsi, le SMD ne peut pas être transmis aux proches.

Que fait la moelle osseuse?

- Toutes les cellules du sang commencent par être des cellules souches. On considère souvent ces cellules comme des petites usines. Chez les personnes en bonne santé, les cellules souches hématopoïétiques (les cellules « usines ») se développent et arrivent à maturité (se différencient) dans la moelle osseuse de manière à former plusieurs types différents de cellules sanguines.
- Au stade initial, les cellules souches hématopoïétiques se différencient pour former des cellules souches pluripotentes. Les cellules pluripotentes ont la capacité de fabriquer de nouvelles cellules sanguines.
- Les cellules souches pluripotentes continuent de se différencier pour former des cellules « usines » lymphoïdes ou myéloïdes (cellules progénitrices).
- Les cellules progénitrices myéloïdes donnent naissance aux globules blancs, aux plaquettes et aux globules rouges.
 - Les **globules blancs** (neutrophiles, basophiles, éosinophiles, monocytes, macrophages) aident à lutter contre l'infection.
 - Les **plaquettes** aident le sang à coaguler et à enrayer les saignements.
 - Les **globules rouges** (aussi appelés érythrocytes ou hématies) transportent l'oxygène vers toutes les cellules de l'organisme.
- Les cellules progénitrices lymphoïdes donnent naissance aux lymphocytes T, aux lymphocytes B et aux cellules tueuses naturelles. Ces cellules accomplissent d'importantes fonctions immunitaires qui aident à lutter contre les infections bactériennes ou virales courantes.



Référence:

Bejar, R., Levine, R., et Ebert, B.L. (2011) Unraveling the molecular pathophysiology of Myelodysplastic Syndromes. *Journal of Clinical Oncology*, 29, 5-4-515

Quels sont les symptômes du SMD?

Quels sont les symptômes du SMD?

De nombreux patients n'éprouvent aucun symptôme lorsqu'ils reçoivent leur diagnostic de SMD. Leur médecin peut avoir demandé des analyses sanguines dans le cadre d'un bilan de santé de routine et la découverte est fortuite.

D'autres patients consulteront un médecin parce qu'ils présentent des symptômes souvent associés à certaines baisses des numérations sanguines. Les symptômes initiaux les plus courants chez les patients qui n'ont pas encore reçu leur diagnostic de SMD concordent avec le type de cytopénie:

- **baisse des globules rouges (anémie):** fatigue, essoufflement, battements cardiaques irréguliers (palpitations)
- **baisse des globules blancs (neutropénie):** fièvre, infections à répétition ou persistantes
- **baisse des plaquettes (thrombocytopénie):** ecchymoses (bleus), pétéchies (petits points rouges violacés) ou saignements



Illustration par Kirk Molodoff

cytopénies résultant d'une production anormale des cellules sanguines par la moelle osseuse en raison du SMD

Quels tests utilise-t-on pour diagnostiquer le SMD?

Aux premiers stades du SMD, les numérations sanguines anormales sont le signe le plus fréquent. Le médecin demandera ensuite d'autres tests pour déterminer les causes possibles des numérations sanguines anormales. En l'absence d'explications claires, une ponction-biopsie de moelle osseuse sera nécessaire pour évaluer le fonctionnement des cellules « usines »; les échantillons ne peuvent provenir que de la moelle osseuse et ils sont essentiels pour confirmer le diagnostic de SMD.

Analyses de laboratoire standard utilisées pour évaluer les numérations sanguines anormales, telles que les cytopénies

| Analyse de laboratoire | Ce que nous recherchons |
|--|--|
| Formule sanguine complète avec différentielle, numération plaquettaire et numération des réticulocytes | Présence de cytopénies, de blastes périphériques, d'anomalies morphologiques et de réponses médullaires à l'anémie. |
| Dosage sérique du fer, de la ferritine, de la capacité totale de fixation du fer, de l'acide folique, de la vitamine B12 | Déficit en fer, en vitamine B12, en acide folique; peuvent aussi causer l'anémie et dans certains cas, la thrombocytopénie. |
| Lactate déshydrogénase, haptoglobine, numération des réticulocytes, test de Coombs (test à l'antiglobuline) | Les globules rouges peuvent être détruits par un système immunitaire hyperactif. On utilise ces analyses sanguines pour surveiller les signes d'hémolyse (destruction des globules rouges par le système immunitaire). |
| Érythropoïétine (ÉPO) sérique | L'érythropoïétine (ÉPO) est une hormone sécrétée par les reins qui est essentielle à la fabrication des globules rouges normaux. Certains patients atteints de SMD n'ont pas suffisamment d'ÉPO. |

Examen de la moelle osseuse

Si vos analyses sanguines révèlent la présence de numérations sanguines faibles (cytopénies), votre médecin pourrait recommander un examen de la moelle osseuse. L'examen de la moelle osseuse peut révéler des anomalies des cellules médullaires (dysplasiques) et permet une évaluation des chromosomes (analyse cytogénétique). Ces tests fournissent des renseignements additionnels qui peuvent aider à poser le bon diagnostic. L'examen de moelle osseuse comporte deux éléments: la ponction et la biopsie. La ponction et la biopsie s'effectuent généralement en même temps.

Ponction de moelle osseuse

La ponction de moelle osseuse consiste à aspirer un échantillon de la portion liquide de la moelle osseuse. On l'utilise pour obtenir de petits échantillons de cellules qui fabriquent le sang. Cela donne des renseignements sur la forme des cellules (morphologie), sur leur maturation (différenciation) et sur le nombre de blastes (cellules immatures) dans la moelle osseuse. La ponction peut aussi servir pour d'autres tests qui aident à déterminer la cause des cytopénies, comme les tests cytogénétiques.

Biopsie de moelle osseuse

La biopsie de moelle osseuse s'effectue sur un autre type de petit échantillon (de la taille et de la forme d'une mine de crayon moyenne) prélevé dans le centre spongieux de la moelle osseuse. Ce spécimen de moelle osseuse mesure généralement de 1,5 à 2,0 cm de longueur. Il fournit des renseignements sur la cellularité de la moelle osseuse (dense = hypercellulaire, vide = hypocellulaire). Il fournit aussi des renseignements utiles sur le stockage du fer, la cicatrisation (fibrose) et la présence potentielle d'autres cellules anormales.

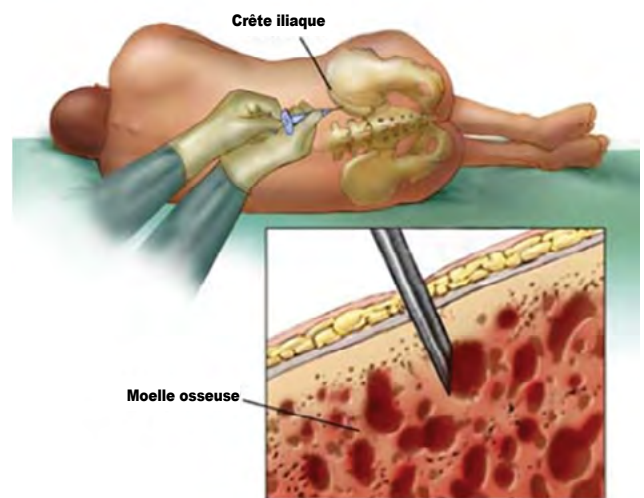
Traitement de l'échantillon

Les échantillons de ponction et biopsie de moelle osseuse sont placés sur des lames de verre et dans diverses éprouvettes de laboratoire. On les envoie à un hématopathologiste, un médecin spécialiste de l'examen des échantillons de sang et de moelle osseuse pour le diagnostic des maladies. Le médecin utilise un microscope pour examiner les cellules des échantillons de ponction et de biopsie de moelle osseuse. Les résultats de la ponction et biopsie de moelle osseuse s'obtiennent en deux à quatre jours. Les analyses cytogénétiques et autres examens particuliers peuvent demander jusqu'à un mois.

Technique de ponction et biopsie de moelle osseuse

Un examen de moelle osseuse peut s'effectuer au bureau du médecin, généralement en une vingtaine de minutes. On peut procéder à la ponction avec une anesthésie locale ou, dans certains cas, une légère sédation ou analgésie.

1. Le patient est étendu sur le côté ou sur le dos. Il est toujours utile d'avoir une vessie vide avant l'intervention. Il est important de continuer de respirer calmement tout au long de l'intervention pour faciliter le relâchement musculaire.
2. Le professionnel de la santé responsable de l'intervention préparera un champ stérile, ce qui inclut la désinfection de la peau au niveau de la crête iliaque postérieure, excroissance osseuse de la hanche droite ou gauche (là où se trouverait la poche arrière d'un jean).
3. La peau qui recouvre le site du prélèvement sera anesthésiée (on engourdit la peau) avec un type de lidocaïne (médicament pour engourdir). Vous pourriez ressentir une piqûre d'aiguille et un très bref picotement causé par la lidocaïne.



4. Une seconde aiguille est insérée pour engourdir la surface de l'os (le périoste), là où se trouvent toutes les terminaisons nerveuses. Vous ressentirez une brève sensation de brûlure à la première injection, un peu comme lors d'une anesthésie des gencives chez le dentiste.
5. Une fois que la peau et l'os ont été anesthésiés, une petite incision est pratiquée à la surface de la peau pour permettre l'insertion de l'aiguille (trocart) et prélever l'échantillon de moelle osseuse. Il existe plusieurs types d'aiguilles de nos jours. La plupart permettent de prélever en même temps les échantillons de ponction et de biopsie.
6. Le trocart pour prélèvement de moelle osseuse, de plus fort calibre, permet de pénétrer la couche externe et dure de l'os (os cortical). Il a environ le calibre d'un thermomètre à viande et son centre est creux. Vous ressentirez une pression. Certains patients ont des os très durs. Une pression plus forte doit donc être appliquée pour percer l'os. Assurez-vous d'informer votre professionnel de la santé si vous éprouvez une douleur vive ou si la douleur irradie vers votre jambe.
7. Une fois que l'aiguille atteint la partie spongieuse de la moelle osseuse (moelle rouge), la portion interne de l'aiguille est retirée et on obtient l'aspirat (l'échantillon). Vous éprouverez peut-être une brève sensation de pression (quelques secondes), un peu comme une crampe, lors de cette première aspiration de moelle osseuse. Il sera utile de prendre une respiration profonde au moment de l'aspiration. Le nombre d'échantillons prélevé dépendra des résultats aux tests demandés par votre médecin.
8. On utilise ensuite la même aiguille pour la biopsie. La gaine interne est retirée une fois que l'os cortical a été pénétré. L'aiguille creuse est insérée dans la moelle osseuse. Votre professionnel tournera et bougera délicatement l'aiguille pour dégager et extraire l'échantillon en un seul morceau. Vous ressentirez une très brève pression et quelques vibrations. Certaines personnes ressentent une brûlure de courte durée lorsque l'os est prélevé.
9. Après l'intervention, le professionnel exercera une pression au point de ponction pour prévenir tout saignement. On applique généralement ensuite un pansement compressif.
10. Vous devrez vous abstenir de prendre une douche pendant 24 heures et de vous baigner (bain, baignade, spa) pendant 48 à 72 heures. Demandez à votre professionnel des instructions sur les soins à apporter au point de ponction.
11. Certains patients peuvent présenter une ecchymose ou une enflure sous la peau, particulièrement si leur numération plaquettaire est basse, ou s'ils prennent des anticoagulants (médicaments qui « éclaircissent » le sang). Assurez-vous d'informer votre professionnel de la santé si vous prenez de l'aspirine ou d'autres médicaments qui ont un effet anticoagulant.
12. Une légère douleur et de l'inconfort au point de ponction peuvent persister pendant deux ou trois jours après le prélèvement de moelle osseuse.
13. Pour des raisons de sécurité, on demande au patient de se faire accompagner d'un ami, d'un membre de sa famille ou d'un aidant pour son retour à la maison. Le patient doit s'abstenir de conduire.

Qu'arrive-t-il à la moelle osseuse dans le SMD?

Qu'arrive-t-il à la moelle osseuse dans le SMD?

Chez les patients atteints de SMD, le développement et la maturation (différenciation) des cellules « usines » de la moelle osseuse (cellules souches hématopoïétiques) se font anormalement.

Cela entraîne une accumulation de cellules immatures (blastés) dans la moelle osseuse et l'incapacité de cette dernière de fabriquer des cellules sanguines normales émanant des cellules « usines » myéloïdes, d'où une baisse des numérations sanguines (cytopénies).

La plupart des patients atteints de SMD ont une moelle osseuse dense, aussi appelée moelle osseuse hypercellulaire. Mais certains peuvent avoir un faible nombre de cellules dans leur moelle osseuse; on parle alors de SMD hypocellulaire.

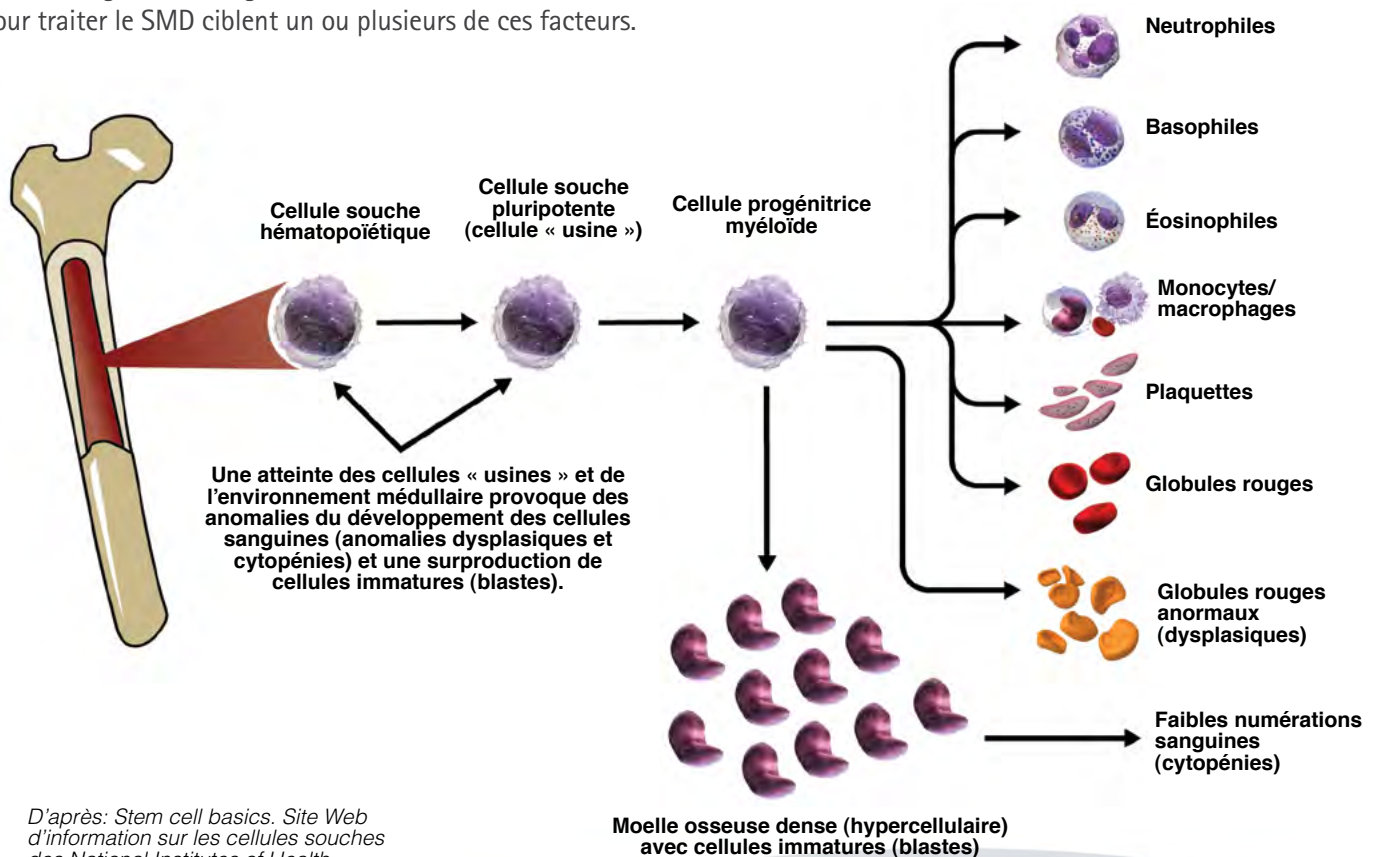
Les globules rouges, les globules blancs et les plaquettes proviennent tous des mêmes cellules « usines » myéloïdes (progénitrices). Il s'agit de cellules dont on peut mesurer les taux dans le sang périphérique. En présence de SMD, elles se trouvent souvent en nombres moindres (cytopénies) et fonctionnent de manière anormale.

La défectuosité des cellules « usines » myéloïdes résulterait d'anomalies à l'intérieur même des cellules et d'anomalies affectant le système de soutien, ou microenvironnement, médullaire.

Les anomalies les plus courantes qui affectent les cellules « usines » myéloïdes et qui causeraient le SMD incluent des anomalies chromosomiques et des anomalies épigénétiques.

Anomalies du microenvironnement médullaire propices au SMD

Plusieurs anomalies du microenvironnement médullaire seraient propices au développement d'un SMD. Certaines expliquent également en partie le développement anormal ou inefficace des composants du sang (aussi appelés éléments figurés du sang). Plusieurs des médicaments utilisés actuellement pour traiter le SMD ciblent un ou plusieurs de ces facteurs.



D'après: *Stem cell basics*. Site Web d'information sur les cellules souches des National Institutes of Health.

Anomalies épigénétiques

Les gènes agissent comme des plans pour la fabrication des protéines. Les protéines sont le principal élément constitutif de toutes les cellules vivantes. Elles renferment des renseignements qui déterminent la structure, le fonctionnement et la régulation des tissus et des organes du corps. Lorsqu'une cellule a besoin d'une protéine, elle active le gène correspondant. L'information contenue dans l'ADN est transformée en un code qui sert ensuite de modèle pour la fabrication de cette protéine.

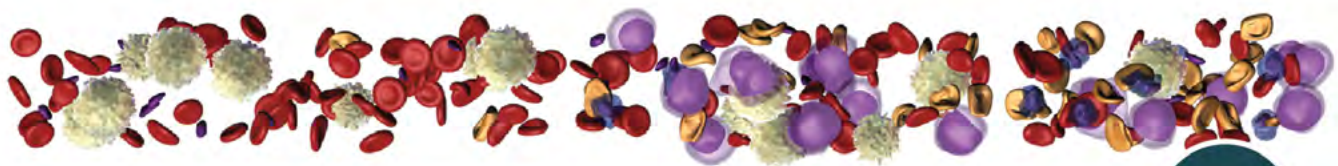
L'ADN de nos cellules recouvre des complexes de protéines appelées histones, comme un fil autour d'une bobine. Ensemble, l'ADN et les histones constituent la chromatine.

Les marques épigénétiques sont des groupes chimiques de divers types qui complètent les histones et l'ADN. Ajoutées ou éliminées, ces marques font en sorte qu'un gène est lu ou silencieux. De cette façon, elles peuvent aider soit à transmettre le code, soit à le bloquer.

Dans le SMD, les composés méthyles (complexes chimiques) peuvent se fixer aux gènes requis pour l'hématopoïèse normale (développement normal des éléments figurés du sang). Lorsque les composés méthyles sont trop nombreux à se fixer aux gènes, on parle d'hyperméthylation. L'hyperméthylation fait taire les gènes requis pour le développement normal des cellules sanguines. L'hyperméthylation est courante dans le SMD. Il s'agit d'un processus continu, associé à la progression de la maladie, y compris l'apparition de la leucémie myéloïde aiguë. De récentes découvertes ont montré que les mécanismes épigénétiques anormaux sont pour une bonne part secondaires à des mutations (modifications) de plusieurs gènes dans les cellules myélodysplasiques des patients (voir ci-dessous). Certains traitements pour le SMD portent le nom d'agents hypométhylants car ils bloquent les groupes méthyles pour permettre le transfert de l'information requise au développement normal des cellules sanguines.

Facteurs liés à l'individu

Âge • Exposition chimique • Exposition à des radiations
Dysfonction immunitaire • Facteurs inconnus



Moelle osseuse normale

Moelle osseuse anormale

SMD

Anomalies
cytogénétiques

Anomalies du
microenvironnement

Anomalies épigénétiques affectant l'ADN

Facteurs liés à la moelle osseuse

Ce qui arrive à la moelle osseuse dans le SMD

Tests cytogénétiques et moléculaires pour le SMD

Qu'est-ce que la cytogénétique?

La cytogénétique est une branche de la génétique qui s'intéresse à l'étude de la structure et du fonctionnement de la cellule et, plus particulièrement, des chromosomes. Un échantillon de ponction de moelle osseuse est nécessaire pour effectuer une analyse cytogénétique dans les cas de SMD.

Les cellules sont les unités fonctionnelles fondamentales de tout organisme vivant. Toutes les instructions requises pour la gestion des activités sont contenues dans l'ADN. L'ADN, qui est une combinaison de protéines, fournit le plan de fabrication de toutes les cellules du corps humain.

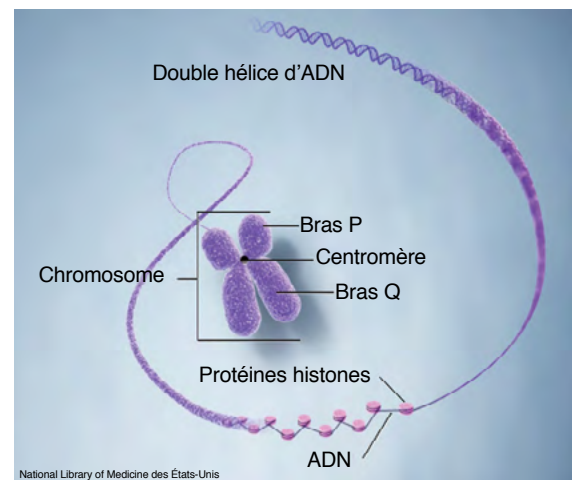
L'ADN est présent dans le noyau de chaque cellule du corps (à l'exception des globules rouges qui sont dépourvus de noyaux). À l'intérieur du noyau d'une cellule, de longs brins d'ADN entourent les chromosomes comme une spirale.

Ce que les chercheurs savent des chromosomes vient principalement de leur observation durant la division cellulaire (métaphase). Une analyse chromosomique standard étudiera 20 métaphases.

On sait que certains traitements pour le SMD, comme les agents hypométhylants azacitidine (Vidaza®) et décitabine (Dacogen®), agissent le mieux au moment de la division cellulaire.

Les chromosomes sont au nombre de 46 dans les cellules humaines, soit 22 paires autosomes (un chromosome fourni par la mère et un fourni par le père) et deux chromosomes sexuels, soit deux chromosomes X pour la femme (un venant de la mère et l'autre du père) ou un chromosome X et un chromosome Y pour l'homme (le X venant de la mère et le Y, du père).

Chaque chromosome est pourvu d'un point central rétréci appelé centromère qui divise le chromosome en deux sections ou « bras ». Le bras court du chromosome est appelé le « bras P ». Le bras long du chromosome est le « bras Q ».



Gènes et SMD

Les chromosomes renferment plusieurs milliers de gènes. Les gènes sont de petites sections d'ADN. Chaque gène agit comme un code ou comme un ensemble d'instructions pour la fabrication d'une protéine en particulier. Ces protéines contrôlent l'activité de la cellule en lui disant quoi faire, en donnant à l'organisme des caractéristiques particulières (comme le sexe masculin ou féminin) et elles déterminent la façon de fonctionner de l'organisme. De nombreuses maladies, dont le SMD, se caractérisent par des protéines rendues anormales par des modifications des gènes appelées mutations. Certains de ces gènes joueraient un rôle dans le développement du SMD et, parfois, dans la réponse à son traitement. Les anomalies des gènes sont appelées des mutations. Les mutations géniques peuvent être détectées au moyen d'analyses moléculaires, qui complètent les analyses cytogénétiques dans les SMD.

Comment utilise-t-on les résultats des analyses cytogénétiques et moléculaires dans le SMD?

Les résultats de vos analyses cytogénétiques servent à déterminer votre type de SMD et votre catégorie de risque selon le système de classification pronostique international, ou IPSS (pour *International Prognostic Scoring System*), et sa version révisée (IPSS-R).

Référence:

Genetics Home Reference, National Library of Medicine (Bethesda, MD) (en ligne).
Accessible à l'adresse: <http://ghr.nlm.nih.gov/handbook/basics?show=all#chromosome> (consulté en novembre 2012)

Des anomalies cytogénétiques s'observent dans environ 40 % de tous les cas de SMD primaires et dans la majorité des cas de SMD secondaires. Les anomalies chromosomiques les plus courantes dans le SMD affectent les chromosomes 5, 7, 8 et 20. On les décrit en fonction des changements structurels observés à l'examen des chromosomes. Cela inclut des délétions (portions manquantes de chromosome), des ajouts (portions surnuméraires) et des translocations (portions déplacées).

Vous pouvez poser des questions au sujet de vos tests cytogénétiques. Le rapport décrira le nombre de divisions cellulaires (habituellement 20), le nombre de chromosomes normaux et la présence de chromosomes anormaux. Le nombre de divisions cellulaires (métaphases) est présenté entre crochets [].

Profil chromosomique (caryotype) masculin normal = 46XY [20]

Profil chromosomique (caryotype) féminin normal = 46XX [20]

Exemple de variables cytogénétiques anormales dans le SMD: 46XX, del(5)(q13q33) [19], 46XX [1]:

Cette patiente présente 19 métaphases accompagnées d'une délétion du chromosome 5q notée comme suit: del(5)(q13q33) et une métaphase 46XX normale correspondant au caryotype féminin.

Les analyses cytogénétiques servent à calculer le score IPSS et IPSS-R. Certaines anomalies cytogénétiques sont considérées favorables, tandis que d'autres sont considérées moins favorables. Certaines sont associées à une meilleure réponse à divers traitements, par exemple, l'anomalie del(5q). Il a été démontré que les patients atteints de SMD accompagné d'une anomalie del(5q) répondent plus favorablement au traitement par lénalidomide (Revlimid®).

Les analyses moléculaires gagnent en importance dans les SMD, mais on les utilise moins que les analyses cytogénétiques (c'est pourquoi on n'y a pas systématiquement recours). Elles peuvent détecter les mutations des cellules myélodysplasiques chez la plupart des patients atteints de SMD, y compris les mutations génétiques à l'origine des mécanismes épigénétiques anormaux (incluant les gènes TET2 et ASXL1) ou d'autres gènes (comme les gènes SF3B1, SRSF2 et TP53, etc). Toutefois, le fait d'identifier une mutation génétique exerce actuellement un impact limité sur la prise en charge des patients dans la plupart des cas, même si les résultats préliminaires donnent à penser, que par exemple, la mutation TET2 peut être associée à une amélioration de la réponse à l'azacitidine (Vidaza®).

Les syndromes myélodysplasiques forment une famille de cancers myéloïdes qui varient considérablement quant à leur développement et quant à leur pronostic, selon le type et la catégorie de risque (estimation de leur gravité).

On établit le type de SMD au moyen des résultats de la ponction-biopsie de moelle osseuse, des analyses cytogénétiques, de la formule sanguine complète avec différentielle et autres analyses sanguines.

Il existe deux grands systèmes de classification pour déterminer le sous-type de SMD: le système de classification de l'Organisation mondiale de la santé (OMS) et le système de classification franco-américano-britannique (FAB). Vous pourriez voir une mention de ces deux systèmes de classification sur votre rapport de ponction et biopsie de moelle osseuse.

Mais le système le plus utilisé pour estimer la gravité du SMD est le système de classification pronostique international ou IPSS (pour *International Prognostic Scoring System*). Ce système a récemment fait l'objet d'une révision et porte maintenant le nom d'IPSS-R.

Système de classification franco-américano-britannique (FAB)

La classification FAB a été élaborée au début des années 1980 par un groupe de médecins experts du diagnostic du SMD. Ces experts venaient de France (F), des États-Unis (A) et de Grande-Bretagne (B). Le critère central de classification selon le système FAB était le pourcentage de blastes dans la moelle osseuse. La classification FAB reconnaissait cinq sous-types de SMD:

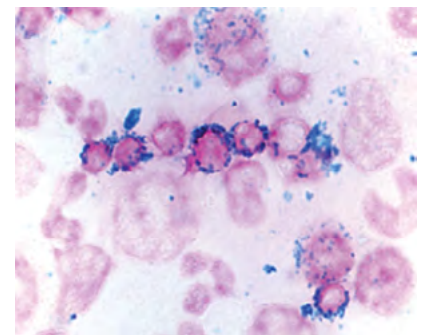
- anémie réfractaire (AR)
- anémie réfractaire avec sidéroblastes en couronne (ARSC)
- anémie réfractaire avec excès de blastes (AREB)
- anémie réfractaire avec excès de blastes en transformation (AREB-t)
- leucémie myélomonocytaire chronique (LMMC)

Système de classification de l'Organisation mondiale de la santé (OMS)

Le système de classification de l'Organisation mondiale de la santé (OMS) reconnaît différents sous-types de SMD d'après de volumineuses séries de données colligées sur des patients à l'échelle mondiale et a fait progresser la compréhension des processus pathologiques en cause dans le SMD. Le système de classification de l'OMS a intégré les éléments clés du système de classification FAB. Les principales caractéristiques des sous-types de SMD reconnues par le système de classification de l'OMS sont les suivantes:

Anémie réfractaire (AR) et anémie réfractaire avec sidéroblastes en couronne (ARSC)

- Anémie réfractaire (ne répondant pas) à un traitement par suppléments de fer ou de vitamines. L'anémie peut s'accompagner de thrombocytopénie et de neutropénie de légères à modérées.
- Les sidéroblastes sont des globules rouges qui renferment des granules de fer; les sidéroblastes en couronne sont anormaux et renferment des dépôts de fer en forme de « collier ».
- L'anémie réfractaire (AR) et l'AR avec sidéroblastes en couronne (ARSC) sont considérées comme des sous-types au pronostic plus favorable selon le système de classification de l'OMS.



sidéroblastes en couronne

Cytopénies réfractaires avec dysplasie multilignée (CRDM) ou cytopénies réfractaires avec dysplasie unilignée (CRDU)

- Les patients qui présentent des cytopénies réfractaires entrent dans cette catégorie. Leurs numérations sanguines restent faibles, tous types de cellules sanguines confondus. Par exemple, neutropénie réfractaire (baisse des globules blancs) ou thrombocytopénie réfractaire (baisse des plaquettes) et dysplasie minime touchant plus d'un type de cellules sanguines et moins de 5 % de blastes ou moins de 15 % de sidéroblastes en couronne.
- Lorsqu'un patient présentant une CRDM a plus de 15 % de sidéroblastes en couronne, le diagnostic est celui de CRDM-SC.

Anémie réfractaire avec excès de blastes (AREB)

- Cette catégorie se subdivise en deux sous-types selon le nombre blastes présents dans la moelle osseuse. Les patients qui présentent une AREB-1 ont de 5 % à 9 % de blastes et ceux qui présentent une AREB 2 ont 10 % à 19 % de blastes.

Syndrome 5q- (5q « moins »)

Se définit par un amalgame de signes, notamment:

- Délétion 5q comme seule anomalie cytogénétique
- Plus fréquent chez les femmes (rapport femmes:hommes = 7:3)
- Âge médian au moment du diagnostic: 68 ans
- Anémie macrocytaire, légère leucopénie (baisse des globules blancs), numération plaquettaire normale ou augmentée (thrombocytose)
- Évolution indolente, pronostic favorable (survie médiane > 5 ans), et risque de transformation leucémique de 12 % à 16 % seulement.

Quel est le stade de mon SMD?



SMD non classifiés

Cette catégorie de SMD non classifiés regroupe probablement moins de 1 % ou 2 % de tous les cas de SMD. La catégorie a été créée pour accueillir les quelques patients qui présentent des cytopénies n'affectant qu'un seul type de cellules sanguines (p. ex., thrombocytopénie ou neutropénie) et des caractéristiques inhabituelles (p. ex., fibrose de la moelle osseuse)

Quelle est la gravité de mon SMD?

Les syndromes myélodysplasiques forment une famille de cancers myéloïdes qui varient considérablement quant à leur développement et quant à leur pronostic, selon le type et la catégorie de risque (estimation de leur gravité). Le système le plus utilisé pour estimer la gravité du SMD est le système de classification pronostique international ou IPSS (pour *International Prognostic Scoring System*). Ce système a récemment fait l'objet d'une révision et porte maintenant le nom d'IPSS-R.

Système de classification pronostique international (IPSS) (pour *International Prognostic Scoring System*)

Il existe un système d'évaluation de la gravité du SMD: le système de classification pronostique international IPSS. Après qu'un patient ait subi ses tests (examen physique et analyses sanguines), on «catégorise» la maladie en fonction du risque qu'elle pose pour le patient, c'est-à-dire, espérance de vie et risque de progression ou de transformation leucémique. Il s'agit du «pronostic». Le score IPSS est un score assigné à certaines valeurs: premièrement, au pourcentage de blastes dans la moelle osseuse, deuxièmement, aux analyses cytogénétiques (reconnaissance des anomalies chromosomiques) dans les cellules sanguines de la moelle osseuse et troisièmement, aux numérations sanguines et résultats des autres analyses de sang.

| Établissement du score IPSS | |
|---|--------|
| Score IPSS: total des scores individuels concernant les blastes, les anomalies cytogénétiques et les analyses sanguines | |
| Blastes dans la moelle osseuse | Scores |
| 5 % ou moins | 0,0 |
| 5-10 % | 0,5 |
| 11-20 % | 1,5 |
| 21-30 %* | 2,0 |
| Profil cytogénétique [†] | |
| Favorable | 0,0 |
| Intermédiaire | 0,5 |
| Défavorable | 1,0 |
| Observations suite aux analyses sanguines [‡] | |
| 0 ou 1 observation | 0,0 |
| 2 ou 3 observations | 0,5 |

* Les patients dont la moelle osseuse renferme plus de 20 % de blastes souffrent de leucémie myéloïde aiguë (LMA).

† Un profil cytogénétique «favorable» inclut: un ensemble normal de 23 paires de chromosomes ou un ensemble présentant une perte partielle seulement du bras long des chromosomes n^{os} 5 ou 20 ou une perte du chromosome Y; un profil cytogénétique «intermédiaire» inclut les catégories autres que «favorable» ou «défavorable». Le profil cytogénétique «défavorable» inclut: anomalies du chromosome n^o 7 ou présence de trois anomalies chromosomiques ou plus.

‡ Les observations suite aux analyses sanguines sont définies comme suit: neutrophiles < 1 800 par microlitre, hématicrite < 36 % (globules rouges par rapport au volume sanguin total), plaquettes < 100 000 par microlitre.

Calcul du score IPSS

On calcule le score IPSS en additionnant les scores individuels obtenu pour le pourcentage de blastes, le profil cytogénétique et les observations suite aux analyses sanguines. On l'utilise pour évaluer l'évolution clinique du patient atteint de SMD. Le score IPSS permet d'assigner un patient à l'une des catégories de risque suivantes:

- Groupe à risque faible: score IPSS de 0
- Groupe à risque intermédiaire-1: score IPSS de 0,5 à 1,0
- Groupe à risque intermédiaire-2: score IPSS de 1,5 à 2,0
- Groupe à risque élevé: score IPSS de plus de 2,0

Comment calculer le score IPSS-R



Système international de classification pronostique révisé (IPSS-R)

L'IPSS-R a été conçu par un groupe d'experts internationaux du SMD qui représentaient 11 pays et 7 012 patients. Ces données ont servi à estimer l'espérance de vie (la survie) d'un patient porteur d'un diagnostic récent de SMD sans traitement et le risque d'évolution vers une leucémie myéloïde aiguë (LMA). La catégorie de risque (degré de gravité) est estimée à partir des résultats de la ponction et biopsie de moelle osseuse, du profil cytogénétique et des résultats aux analyses sanguines (formule sanguine complète avec différentielle et numération plaquettaire).

Score IPSS-R pour le SMD: Valeurs du score pronostique/catégories de risque

| Score/attribution | 0 | 0,5 | 1 | 1,5 | 2 | 3 | 4 |
|----------------------|----------------|----------------|---------------|-----|---------------|-------------|------------------|
| Profil cytogénétique | Très favorable | | Favorable | | Intermédiaire | Défavorable | Très défavorable |
| Blastes (%) | < 2 % | | > 2 % - < 5 % | | 5 - 10 % | > 10 % | |
| Hémoglobine (g/dL) | ≥ 10 | | 8 - < 10 | < 8 | | | |
| Plaquettes | ≥ 100 000 | 50 - < 100 000 | < 50 000 | | | | |
| NAN | ≥ 0,8 | < 0,8 | | | | | |

Le profil cytogénétique joue un rôle très important dans l'estimation pronostique d'un patient atteint de SMD. Le score IPSS-R se fonde sur un amalgame révisé des anomalies cytogénétiques (voir: *Calculateur de score IPSS-R*, à l'adresse www.mds-foundation.org/ipss-r-calculator)

| Catégorie de risque cytogénétique | Types d'anomalies cytogénétiques | Survie estimée |
|-----------------------------------|--|----------------|
| Risque très faible | del(11q), -Y | 5,4 ans |
| Risque faible | Normal, del(5q), del(12p), del(20q), double incluant del(5q) | 4,8 ans |
| Risque intermédiaire | del(7q), +8, +19, i(17q), tout autre clone simple ou clones doubles indépendants | 2,7 ans |
| Risque élevé | -7, inv(3)/t(3q)/del(3q), double incluant -7/del(7q) Complexe: 3 anomalies | 1,5 an |
| Risque très élevé | Complexe: > 3 anomalies | 0,7 an |

Il existe cinq catégories de risque définies par le score IPSS-R qui s'accompagnent d'une survie estimée et d'un risque médian de LMA comme suit:

| Score | ≤ 1,5 Risque très faible | > 1,5 - 3 Risque faible | > 3 - 4,5 Risque intermédiaire | > 4,5 - 6 Risque élevé | > 6 Risque très élevé |
|---|-----------------------------|----------------------------|-----------------------------------|---------------------------|--------------------------|
| Survie globale (moyenne) | 8,8 ans | 5,3 ans | 3,0 ans | 1,6 an | 0,8 an |
| Risque de LMA chez 25 % des patients (médian) | Non atteint | 10,8 ans | 3,2 ans | 1,4 an | 0,73 an |

Il est important de savoir que ces critères servent à orienter le choix du traitement et les conseils transmis au patient et à ses aidants. Ils ne représentent pas les patients qui reçoivent un traitement susceptible de prolonger leur survie. Pour accéder aux calculateurs IPSS-R en ligne ou pour télécharger les applications mobiles IPSS-R, utilisez le lien suivant:

www.mdsfoundation.org/interactive-tools

Référence:

Greenberg, et coll. (2012) *Blood*. 120:2454-2465; doi:10.1182/blood-2012-03-420489

RECHERCHE DE TRAITEMENTS

Les objectifs du traitement pour le SMD dépendent du type spécifique de SMD dont vous souffrez, de l'impact que la maladie a sur vous et des traitements qui vous sont accessibles.

Le SMD peut être traité de plusieurs façons différentes. Les traitements pour le SMD appartiennent à trois grandes catégories: observation, soins de soutien et traitement modifiant la maladie.

La greffe de moelle osseuse et une participation à des essais cliniques pourraient représenter des options pour vous. Pour pouvoir poser des questions et faire un choix éclairé, vous devez comprendre les recommandations thérapeutiques de votre oncologue, l'effet que les traitements peuvent avoir sur vous au quotidien et les objectifs du traitement.

collaborateurs à la rédaction

| | |
|-----------------|---------------|
| John Bennett | Rami Komrokji |
| Karen Campbell | Sandra Kurtin |
| Nicole Crisp | Alan List |
| Lenn Fechter | Cindy Murray |
| Peter Greenberg | Eric Padron |
| Emily Knight | Jean Ridgeway |
| | Jayshree Shaw |

RECHERCHE DE TRAITEMENTS

| | |
|--|----|
| Se préparer à la visite initiale | 3 |
| Principes généraux du traitement pour le SMD | 4 |
| Transfusions de culots globulaires | 7 |
| Transfusions de plaquettes | 9 |
| Facteurs de croissance | 11 |
| Agents modifiant la maladie | 13 |
| Que sont les soins palliatifs? | 16 |
| Greffe de moelle osseuse | 17 |
| Les étapes de la greffe de moelle osseuse | 18 |
| Évaluation en vue d'une greffe de moelle osseuse | 19 |
| Que sont les essais cliniques? | 20 |
| Participation à un essai clinique | 21 |
| Essais cliniques sur le SMD | 23 |
| SMD chez les enfants | 24 |
| Sources de renseignements sur le SMD et les cancers chez les enfants | 27 |

Qu'arrive-t-il une fois que le diagnostic de SMD est posé?

Une fois que le diagnostic de SMD a été posé, vous rencontrez votre oncologue pour parler du diagnostic, du pronostic, des options thérapeutiques offertes et du traitement qui vous est recommandé, le cas échéant. Un diagnostic de SMD, ou de toute autre forme de cancer, peut déclencher différentes émotions, notamment la peur, l'incertitude, l'anxiété et la tristesse. Vous pouvez vous sentir dépassé par la quantité et la complexité des renseignements que vous recevez pendant le processus diagnostique et une fois que le diagnostic de SMD est confirmé. Diverses stratégies peuvent vous aider à organiser vos idées, vos questions et vos inquiétudes pour que vous puissiez en discuter avec votre équipe soignante. Le fait de comprendre les objectifs du traitement, les critères qui ont mené à son choix et les effets qu'il pourrait avoir sur vous, vous aidera à prendre vos décisions concernant votre plan de traitement, à vous préparer en vue du traitement et à planifier vos activités quotidiennes. Si vous êtes bien préparé, vous pourrez demander de l'aide, au besoin.

Se préparer à la visite initiale

1. Il sera utile de classer les renseignements que vous avez reçus jusqu'à maintenant à la suite des épreuves diagnostiques que vous avez subies et de les apporter avec vous pour votre visite initiale. Faites-en des copies supplémentaires pour ne pas laisser vos originaux au professionnel de la santé.
2. Dressez une liste de vos autres problèmes de santé, de vos chirurgies et de leurs dates ou de tout antécédent familial de cancer ou de trouble sanguin.
3. Faites une liste à jour des médicaments que vous prenez, y compris les produits en vente libre (voir: *Mon plan SMD*).
4. Faites une liste des professionnels de la santé que vous voyez peut-être actuellement pour d'autres problèmes de santé en incluant leurs numéros de téléphone et de télécopieur pour faciliter la communication entre eux (voir: *Mon plan SMD*).
5. Préparez vos questions en vue de votre visite initiale. Voici quelques exemples de questions que vous pourriez poser à votre oncologue:
 - Quel est mon type de SMD et quel est mon pronostic?
 - Quel traitement recommandez-vous pour mon type de SMD et quels sont les objectifs du traitement?
 - Quand dois-je commencer le traitement?
 - Comment le traitement est-il administré? À quelle fréquence? Combien de temps dure chaque traitement?
 - Qu'arriverait-il si je ne me faisais pas traiter?
 - Suis-je candidat pour un essai clinique?
 - Suis-je candidat pour une greffe de moelle osseuse?

Se préparer à la
visite médicale



Il est utile d'écrire vos questions et de demander à un aidant de prendre des notes durant la visite pour que vous puissiez vous concentrer sur ce que votre professionnel vous dit. En comprenant les principes du traitement pour le SMD, vous serez mieux préparé pour votre visite. Demandez des copies de vos résultats d'analyses sanguines et de moelle osseuse et toute autre épreuve diagnostique pour pouvoir classer l'information et créer votre propre profil SMD (voir: *Mon plan SMD*).

Si vous avez des questions au sujet du diagnostic ou des options thérapeutiques, vous pouvez communiquer avec la MDS Foundation ou avec l'un des Centres d'excellence de la MDS Foundation pour plus de renseignements (voir: *À propos de la MDS Foundation*).

Pour être reconnu en tant que Centre d'excellence, un établissement doit répondre aux critères suivants:

- Programme universitaire établi (ou équivalent)
- Expertise morphologique reconnue en matière de SMD
- Service de cytogénétique et/ou de génétique moléculaire sur place
- Recherches en cours, y compris essais cliniques approuvés par le conseil d'examen de l'établissement
- Publications révisées par des pairs dans le domaine

Principes généraux du traitement pour le SMD

Quel est mon type de SMD et quel est mon pronostic?

Les syndromes myélodysplasiques (SMD) appartiennent à une famille d'insuffisances de la moelle osseuse qui peuvent varier au plan de leur manifestation et de leur pronostic, des options thérapeutiques et du risque de transformation leucémique (voir: *Qu'est-ce que le SMD? Comment classifie-t-on les SMD? Quelle est la gravité de mon SMD?*).

Comment choisit-on le traitement?

Le choix du traitement pour le SMD et ses objectifs dépendent de plusieurs facteurs, notamment:

- Votre état de santé personnel
- Vos autres problèmes de santé et leur prise en charge
- Vos médicaments actuels
- Votre état de santé général et votre autonomie au plan des activités de la vie quotidienne
- Votre profil social et émotionnel individuel
- Votre décision d'aller de l'avant avec les options thérapeutiques recommandées
- La disponibilité d'un proche aidant
- La proximité du centre de soins
- L'impact potentiel de votre traitement sur votre qualité de vie et votre style de vie
- Votre couverture d'assurance et l'état de vos finances
- Les caractéristiques de votre SMD
- Votre catégorie de risque IPSS-R (voir: *Quel est mon score IPSS-R? Risque faible ou élevé*)
- La présence de certains marqueurs génétiques, par exemple la délétion 5q ou la mutation TET2 (voir: *Tests cytogénétiques et moléculaires pour le SMD*)
- Les options thérapeutiques actuellement offertes, y compris les essais cliniques (ce facteur peut dépendre du lieu géographique)
- L'admissibilité à une greffe de moelle osseuse

Comment traite-t-on le SMD?



Quels sont les objectifs du traitement?

Les objectifs du traitement pour le SMD dépendent du type spécifique de SMD dont vous souffrez, de l'impact que la maladie a sur vous et des traitements qui vous sont accessibles. Il est important que vous compreniez les recommandations thérapeutiques suggérées par votre oncologue, l'impact qu'elles peuvent avoir sur vous au quotidien et les objectifs du traitement, afin que vous puissiez faire un choix éclairé.

Les objectifs généraux du traitement varient selon le type de maladie (risque faible ou élevé) et le type de traitement. Il peut y avoir diverses façons de prendre en charge un SMD selon les besoins particuliers de chaque patient. Les traitements pour le SMD se classent en trois grandes catégories: observation, soins de soutien et traitement modifiant la maladie.

Observation

L'observation inclut une surveillance continue de vos numérations sanguines et de vos symptômes. La fréquence des visites médicales pour un patient sous observation variera selon son évolution personnelle et la fluctuation de ses numérations sanguines ou de ses symptômes. On réserve généralement cette approche aux patients qui présentent un SMD de risque faible et qui ont des besoins transfusionnels minimes, voire nuls.

Soins de soutien

Les soins de soutien comprennent les transfusions sanguines, les facteurs de croissance et autres traitements destinés à soulager les symptômes, comme les antibiotiques dans les cas d'infection, les suppléments nutritionnels, les traitements pour corriger la surcharge ferrique due aux transfusions, de même que l'aide spirituelle et psychologique. Les soins de soutien sont indiqués pour tous les patients qui ont un diagnostic de SMD. Certains types de soins de soutien sont administrés en fonction de critères spécifiques. Leurs bienfaits sont généralement temporaires, puisqu'ils n'exercent aucun impact sur la maladie elle-même.

| Formes courantes de soins de soutien destinés à améliorer les numérations sanguines: | |
|--|--|
| Transfusion sanguine | Culots globulaires, plaquettes La réglementation qui s'applique à l'administration des produits sanguins varie d'une région à l'autre. |
| Facteurs de croissance des globules rouges | Approuvés pour les patients atteints de SMD de risque inférieur en Europe. Approuvés pour utilisation au Royaume-Uni, dans les pays nordiques et au Canada. Administrés aux États-Unis dans le cadre du programme APPRISE REMS. |
| Facteurs de croissance des globules blancs | Approuvés pour utilisation dans les pays nordiques. Administrés aux États-Unis à titre officieux ou dans des conditions particulières |
| Formes courantes de soins de soutien destinés à corriger la surcharge ferrique due aux transfusions: (voir: <i>Qu'est-ce que la surcharge ferrique?</i> et <i>Peut-on traiter la surcharge ferrique?</i>) | |
| Déférasirox (Exjade®) | Approuvé chez les patients qui présentent une surcharge ferrique aux États-Unis et dans les pays nordiques. Approuvé en Europe pour les patients qui ne tolèrent pas la déféroxamine ou qui n'y répondent pas. Approuvé au Canada pour les patients qui souffrent de rétinopathie ou d'une allergie à la déféroxamine. |
| Déféroxamine (Desferal®) | Approuvée pour la surcharge ferrique au Canada, en Europe, au Japon, dans les pays nordiques, au Royaume-Uni et aux États-Unis. |

Traitement modifiant la maladie

La décision de commencer un traitement modifiant la maladie dépend généralement des anomalies affectant les numérations sanguines, de l'évolution des symptômes ou d'une maladie comportant un risque plus élevé. Les critères pour démarrer ce type de traitement incluent: détérioration des numérations sanguines (cytopénies progressives: anémie, thrombocytopénie ou neutropénie), augmentation du pourcentage de blastes ou accroissement de la fréquence des transfusions sanguines. Toutes ces observations indiquent que le SMD évolue et nuit au fonctionnement normal de la moelle osseuse (voir: *Qu'arrive-t-il à la moelle osseuse dans le SMD?*). Les traitements modifiant la maladie ont la capacité d'agir sur une ou plusieurs anomalies propres aux SMD.

Traitements modifiant la maladie courants pour le SMD

| | |
|---------------------------------------|---|
| Globuline antithymocyte, cyclosporine | Utilisation officieuse pour les SMD de risque faible et hypocellulaire au en Europe, au Japon, dans les pays nordiques et aux États-Unis. |
| Azacitidine (Vidaza®) | Approuvée pour le traitement des SMD de risque supérieur en Europe, dans les pays nordiques, aux États-Unis et au Canada. |
| Décitabine (Dacogen®) | Approuvée pour le traitement des SMD accompagnés d'un score IPSS de risque supérieur ou de risque faible avec thrombocytopénie ou neutropénie aux États-Unis. |
| Lénalidomide (Revlimid®) | Approuvée pour le traitement des SMD de risque faible avec del(5q) aux États-Unis et au Canada. |

SMD de risque faible

Les SMD de risque faible s'accompagnent d'un score IPSS plus bas et de caractéristiques génétiques favorables.

| | | |
|--------|------------------------|----------------------|
| IPSS | Risque faible | Score de 0 |
| | Risque intermédiaire-1 | Score de 0,5 – 1,0 |
| IPSS-R | Risque très faible | Score de < 1,5 |
| | Risque faible | Score de > 1,5 – 3,0 |
| | Risque intermédiaire | Score de > 3,0 – 4,5 |

Traitement des SMD de risque faible



Objectifs du traitement pour les SMD de risque faible:

1. Améliorer l'hématopoïèse (la fabrication des composants du sang).
2. Réduire le nombre de transfusions sanguines et idéalement, éliminer complètement le recours aux transfusions (autonomie transfusionnelle).
3. Améliorer la qualité de vie.
4. Prolonger la survie.

SMD de risque élevé

Les SMD de risque élevé s'accompagnent d'un score IPSS ou IPSS-R plus élevé ou de certaines caractéristiques de risque élevé spécifiques (voir: *Quel est mon score IPSS?* et *Quelle est la gravité de mon SMD?*).

| | | |
|--------|------------------------|--------------------|
| IPSS | Risque intermédiaire-2 | Score de 1,5 – 2,0 |
| | Risque élevé | Score de > 2,0 |
| IPSS-R | Risque élevé | Score de 4,5 – 6,0 |
| | Risque très élevé | Score de > 6,0 |

Traitement des SMD de risque élevé



Objectifs du traitement pour les SMD de risque élevé:

1. Retarder la transformation leucémique.
2. Améliorer la qualité de vie en soulageant les symptômes et en allégeant le fardeau du traitement.
3. Améliorer la survie.

Les transfusions de culots globulaires sont des perfusions intraveineuses (I.V., dans une veine) de globules rouges. Le sang entier est recueilli auprès de donneurs, puis il est séparé en divers composants sanguins. Les globules rouges, administrés sous forme de culots globulaires, font partie du sang entier.

Pourquoi administre-t-on des culots globulaires?

Les transfusions de culots globulaires sont couramment administrées pour soulager temporairement les symptômes d'anémie associée au SMD. Près de 90 % des patients atteints de SMD reçoivent des transfusions de culots globulaires à un moment ou l'autre au cours de leur maladie.

Comment administre-t-on les culots globulaires?

On administre les culots globulaires au moyen d'un cathéter intraveineux (I.V.) inséré dans le bras, d'un cathéter central inséré en périphérie à la partie supérieure du bras ou d'un cathéter central inséré près de la clavicule (cathéter Port-a-Cath ou Hickman)

Comment savoir si j'ai besoin d'une transfusion sanguine?

La plupart des patients atteints de SMD subiront régulièrement des analyses sanguines pour le suivi de leur maladie. Votre professionnel de la santé vous dira si votre hémoglobine se situe à un niveau qui exige une transfusion de culots globulaires. La décision de transfuser dépendra de vos symptômes et de vos résultats d'analyses sanguines. Vous pouvez aussi remarquer des symptômes d'anémie, tels que fatigue croissante, pâleur, essoufflement à l'effort ou accélération de la fréquence cardiaque. Vous devez signaler ces symptômes à votre équipe soignante (voir: *Conseils pratiques: Anémie*).

Comment s'effectue la transfusion de culots globulaires?

Une fois que la décision de transfuser est prise, vous devrez subir une prise de sang pour une épreuve de « compatibilité croisée » entre votre sang et les unités de sang disponibles à la banque de sang de votre hôpital. Ce test a pour but de s'assurer que les cellules du sang transfusé provenant d'un donneur sont compatibles avec vos cellules sanguines. C'est également une façon de déterminer votre type sanguin et de vérifier si des anticorps circulent dans votre sang. Le spécimen sera envoyé à la banque de sang de votre hôpital pour analyse. La banque de sang cherchera ensuite des unités de sang provenant de donneurs qui correspondent à votre type sanguin et aux anticorps dont vous pourriez être porteur. Cela peut prendre de quelques heures à quelques jours, selon la disponibilité du sang et votre type sanguin.

Une fois que l'échantillon aura été prélevé, on vous mettra un bracelet au poignet et vous devrez le garder jusqu'à ce que receviez la transfusion. Le bracelet d'identification sert à vérifier la compatibilité entre votre sang et la transfusion qu'on vous administre.

À quoi puis-je m'attendre le jour de la transfusion?

Le processus par lequel on obtient le culot globulaire compatible et on l'administre en perfusion peut demander plus d'une journée. Et chaque établissement a son propre protocole pour la vitesse d'administration des culots globulaires. Le plus souvent, selon les symptômes et le taux d'hémoglobine du patient, on administre deux culots globulaires. La perfusion d'un culot globulaire prend deux à quatre heures et ne devrait jamais excéder quatre heures en raison du risque de prolifération bactérienne dans le produit sanguin. On devra vous installer un cathéter I.V. pour la transfusion, à moins que vous n'ayez déjà un dispositif d'accès veineux. La perfusion de deux unités de culots globulaires prendra de quatre à cinq heures une fois le sang obtenu.



Illustration par Kirk Moldoff

À quelle fréquence recevrai-je les transfusions de culots globulaires?

La fréquence de vos transfusions variera selon la gravité de vos symptômes, votre hématoците ou votre taux d'hémoglobine. Cela peut aller d'une fois tous les quelques mois pour un SMD de risque inférieur, à une fois toutes les deux à six semaines si la maladie est assortie d'un risque supérieur. Chez certains patients atteints de SMD, l'intervalle entre les transfusions sera d'aussi peu qu'une à deux semaines. Si les patients ont besoin de transfusions de culots globulaires en séries, on parle de dépendance transfusionnelle. La dépendance transfusionnelle est un critère fréquent pour envisager un traitement modifiant la maladie (qui corrige des anomalies de la moelle osseuse) dans le but de stimuler la fabrication des cellules sanguines normales (y compris des globules rouges) et de limiter l'exposition à une quantité excessive de fer (surcharge ferrique).

Quels risques associe-t-on aux transfusions de culots globulaires?

Les transfusions de culots globulaires s'accompagnent de certains risques potentiels. La plupart des effets secondaires sont bénins et facilement gérables au moyen de médicaments. Des réactions plus graves peuvent se produire, mais elles sont rares. Les effets secondaires peuvent être de deux ordres: risques à court terme et risques à long terme.

Risques à court terme

- Fièvre, éruption cutanée, démangeaisons et/ou urticaire font partie des effets secondaires courants et généralement bénins que vous pourriez éprouver.
- Une grave réaction allergique peut survenir, mais ce phénomène est rare.
- La gêne respiratoire est également rare, mais peut survenir lors de réactions allergiques graves ou si du liquide s'accumule dans vos poumons.
- Le personnel infirmier vous surveillera tout au long de votre transfusion pour dépister toute réaction sans tarder.

Risques à long terme

Le risque de transmission d'une infection (comme le VIH ou le virus de l'hépatite) lors d'une transfusion sanguine est très faible. Même si les produits sanguins sont soumis à des tests de dépistage, il ne sera jamais possible de garantir qu'une transfusion ne transmettra aucune infection. Après de nombreuses transfusions sanguines, certaines personnes développent des anticorps dirigés contre le sang provenant de donneurs. Il devient alors plus difficile pour la banque de sang de trouver du sang compatible pour ces personnes. Aussi, un problème de surcharge ferrique peut se manifester si vous recevez de 10 à 20 unités de sang.

Parmi les autres effets indésirables des transfusions de culots globulaires, mentionnons le risque de rétention liquidienne qui peut causer ou aggraver l'essoufflement. Heureusement, on peut habituellement venir à bout de l'accumulation de liquide en administrant un diurétique, comme le furosémide (Lasix®). La transmission de virus par le biais des transfusions sanguines pose un autre problème; toutefois, des tests permettent de dépister les virus dans les dons de sang et de s'assurer ainsi que l'approvisionnement sanguin est le plus sécuritaire possible. Le risque de transmission de virus, comme le VIH, le virus de l'hépatite B ou de l'hépatite C, est extrêmement faible. Malgré ces préoccupations et ces risques, il a été démontré que le traitement de soutien au moyen de transfusions régulières de culots globulaires améliore la qualité de vie des patients qui souffrent d'anémie symptomatique.



Une transfusion de plaquettes se définit comme une perfusion par voie intraveineuse (I.V., dans une veine) de plaquettes. Le sang entier est recueilli auprès de donneurs, puis il est séparé en divers composants sanguins. Les plaquettes font partie du sang entier.

Pourquoi administre-t-on des plaquettes?

On a souvent recours à des transfusions de plaquettes pour soulager temporairement les symptômes de thrombocytopénie (baisse des plaquettes) associés au SMD ou à son traitement. On les administre le plus souvent lorsque le risque d'hémorragie augmente. Les transfusions plaquettaires sont beaucoup moins fréquentes que les transfusions de culots globulaires chez les patients atteints de SMD.

Comment administre-t-on les plaquettes?

On administre les plaquettes au moyen d'un cathéter intraveineux (I.V.) inséré dans le bras, d'un cathéter central inséré en périphérie à la partie supérieure du bras ou d'un cathéter central inséré près de la clavicule (cathéter Port-a-Cath ou Hickman).

Comment savoir si j'ai besoin d'une transfusion de plaquettes?

La plupart des patients atteints de SMD subiront des analyses sanguines régulièrement pour le suivi de leur maladie. Votre professionnel de la santé vous dira si votre numération plaquettaire se situe à un niveau qui exige une transfusion de plaquettes. Vous remarquerez aussi peut-être des symptômes de thrombocytopénie (basse numération plaquettaire), comme une tendance aux ecchymoses (bleus), aux pétéchies (petites taches violacées) ou à des épisodes de saignement. Vous devez signaler ces symptômes à votre équipe soignante (voir: *Conseils pratiques: Thrombocytopénie*). La décision d'administrer des plaquettes dépendra de vos symptômes de vos résultats d'analyses sanguines.

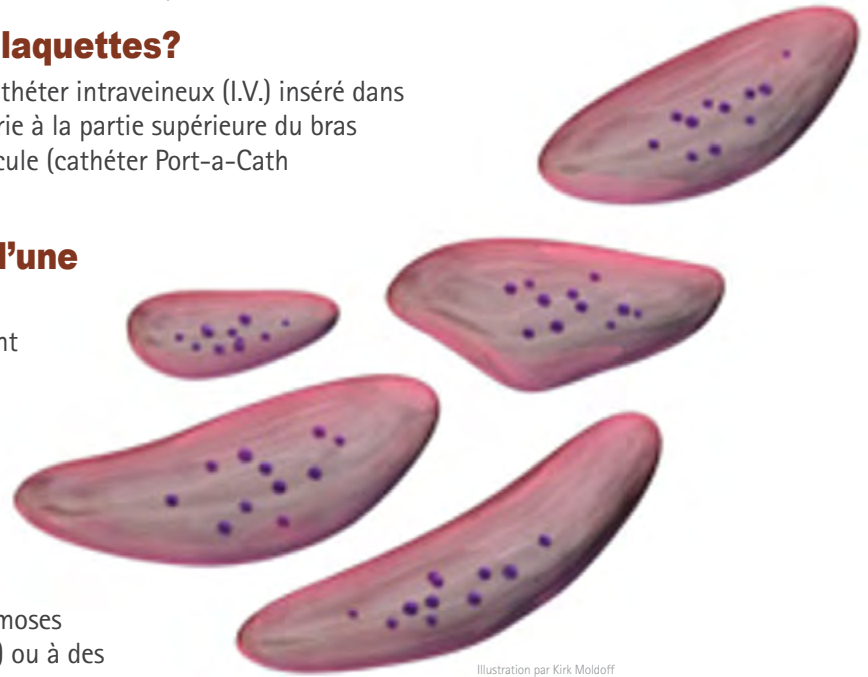


Illustration par Kirk Moldoff

Comment s'effectue la transfusion de plaquettes?

Une fois que la décision de transfuser des plaquettes est prise, vous devrez subir une prise de sang pour une épreuve de « compatibilité croisée » entre votre sang et les unités de sang disponibles à la banque de sang de votre hôpital. Cela peut prendre de quelques heures à quelques jours, selon la disponibilité du sang et votre type sanguin.

Une fois que l'échantillon aura été prélevé, on vous mettra un bracelet au poignet et vous devrez le garder jusqu'à ce que receviez la transfusion. Le bracelet d'identification sert à vérifier la compatibilité entre votre sang et la transfusion qu'on vous administre.

À quoi puis-je m'attendre le jour de la transfusion?

Le processus par lequel on obtient les plaquettes compatibles et on les administre en perfusion peut demander plus d'une journée. Et chaque établissement a son propre protocole pour la vitesse d'administration des plaquettes. Les plaquettes peuvent être soit des unités provenant de dons aléatoires (de multiples unités de sang entier), soit des unités provenant de dons individuels (donneurs individuels qui donnent une unité de plaquettes). Le plus souvent, on administre une unité de plaquettes provenant d'un seul donneur ou quatre à six unités provenant de donneurs aléatoires selon les symptômes et la numération plaquettaire du patient. On administre les plaquettes en perfusions d'une durée de 15 à 30 minutes selon le volume de chaque unité. On devra vous installer un cathéter I.V. pour la transfusion, à moins que vous n'ayez déjà un dispositif d'accès veineux. Les plaquettes transfusées n'ont pas une longue durée de vie (de quelques heures à quelques jours). La fréquence des transfusions dépendra de la capacité de votre moelle osseuse à fabriquer des plaquettes, de vos symptômes et de votre numération plaquettaire.

Quels risques sont associés aux transfusions de plaquettes?

Les transfusions de plaquettes s'accompagnent de certains risques potentiels. La plupart des effets secondaires sont bénins et facilement gérables au moyen de médicaments. Des réactions plus graves peuvent se produire, mais elles sont rares.

Risques à court terme

- Fièvre, éruption cutanée, démangeaisons et/ou urticaire font partie des effets secondaires courants et généralement bénins que vous pourriez éprouver.
- Une grave réaction allergique peut survenir, mais ce phénomène est rare.
- La gêne respiratoire est également rare, mais peut survenir lors de réactions allergiques graves ou si du liquide s'accumule dans vos poumons.
- Le personnel infirmier vous surveillera tout au long de votre transfusion pour dépister toute réaction sans tarder.

Risques à long terme

- La formation d'anticorps pourrait compliquer la recherche d'unités compatibles provenant de donneurs.
- Le risque de transmission d'une infection (comme le VIH ou l'hépatite) par le biais d'une transfusion de plaquettes est très faible.

Les facteurs de croissance sont des protéines de synthèse qui imitent les protéines normales essentielles à l'hématopoïèse (formation normale des cellules sanguines). Il existe des facteurs de croissance qui stimulent la production des globules rouges, ou érythrocytes, des granulocytes (type de globules blancs) et des plaquettes. Ces facteurs de croissance font partie des soins de soutien.

Facteurs de croissance érythrocytaire (agents stimulant l'érythropoïèse ou ASÉ)

Les facteurs de croissance érythrocytaire peuvent améliorer l'anémie en stimulant la production de globules rouges. Les facteurs de croissance érythrocytaire renferment la protéine érythropoïétine. L'érythropoïétine (ÉPO) est une hormone naturellement fabriquée par les reins pour aider les globules rouges à se développer à leur maximum afin qu'ils puissent transporter l'oxygène. On peut mesurer le taux d'érythropoïétine dans le sang. Les patients qui ont un taux d'érythropoïétine sérique < 500 UI/L et qui ont besoin de moins de deux unités de culots globulaires toutes les quatre semaines sont ceux qui bénéficient le plus de l'administration de protéines synthétiques stimulant l'érythropoïèse.

Agents disponibles:

L'**érythropoïétine (ÉPO) (Procrit®)** est une forme d'ÉPO synthétique. On l'administre en injection sous-cutanée (sous la peau) une fois par semaine aux patients atteints de SMD de risque faible, afin d'améliorer leur production de globules rouges. Les doses sont établies en fonction de la réponse individuelle et des lignes directrices régionales en vigueur.

La **darbépoétine (Aranesp®)** est une forme d'ÉPO synthétique à action prolongée. On l'administre en injection sous-cutanée (sous la peau) toutes les deux à trois semaines aux patients atteints d'un SMD de risque faible, afin d'améliorer la production de globules rouges. Les doses sont établies en fonction de la réponse individuelle et des lignes directrices régionales en vigueur.

Aux États-Unis, les ASÉ doivent être administrés dans le cadre du programme de sécurité APPRISE, qui fait partie des programmes de gestion des risques de la FDA (appelés REMS, pour *Risk Evaluation and Mitigation Strategies*).

Facteurs de croissance leucocytaire

Les patients atteints de SMD souffrent souvent de cytopénies résultant d'une baisse de leur numération de neutrophiles, ce qui s'accompagne d'un risque accru d'infection. Les facteurs de croissance leucocytaire (pour les globules blancs) sont des protéines de synthèse utilisées pour stimuler la moelle osseuse afin qu'elle fabrique davantage de neutrophiles pour lutter contre l'infection chez les patients qui souffrent de maladies de la moelle osseuse ou qui doivent subir une chimiothérapie.

Agents disponibles:

Le **filgrastim (Neupogen®)** est une forme synthétique à action brève de facteur stimulant les colonies de granulocytes (ou G-CSF, pour *granulocyte colony-stimulating factor*).

Le **pegfilgrastim (Neulasta®)** est une forme synthétique pégylée (à longue action) de G-CSF.

Le **sagramostim (Leukine®)** est un facteur stimulant les colonies de granulocytes-macrophages recombinant qui agit en augmentant la production de globules blancs. (*Non offert au Canada.*)

Facteurs de croissance plaquettaire

Les facteurs de croissance plaquettaire sont des agents utilisés pour promouvoir la thrombopoïèse, ou production de plaquettes (aussi appelées thrombocytes), afin de prévenir la thrombocytopenie et les saignements. Ces agents ne sont pas approuvés actuellement pour le SMD.

Agents disponibles: *(Non approuvés actuellement pour le SMD)*

L'eltrombopag (Promacta®) fait actuellement l'objet d'essais cliniques et appartient aussi à la classe des médicaments appelés agonistes des récepteurs de la thrombopoïétine, qui agissent en stimulant les récepteurs situés sur les mégacaryocytes afin d'augmenter les numérations plaquettaires. Le produit semble améliorer significativement les numérations plaquettaires chez les patients qui présentent une grave thrombocytopenie. L'eltrombopag est administré par voie orale sous forme de comprimés, une fois par jour, et en est actuellement à l'étape des essais cliniques de phase III pour le traitement des patients souffrant de purpura thrombocytopenique idiopathique chronique.

L'oprelvekin (Neumega®), un facteur de croissance plaquettaire recombinant, est approuvé pour le traitement des patients qui souffrent de thrombocytopenie grave. L'oprelvekin stimule la production des plaquettes en favorisant la croissance des plaquettes immatures dans la moelle osseuse. L'oprelvekin est doté d'une activité limitée chez certains patients atteints de SMD. Dans une étude de phase II portant sur 32 patients atteints de SMD traités par l'oprelvekin à raison de 10 microgrammes/kilogramme/jour, neuf patients (28 %) ont présenté des augmentations de leur numération plaquettaire, mais seulement cinq de ces réponses plaquettaires se sont révélées significatives au plan clinique. L'augmentation des numérations plaquettaires a duré en moyenne neuf mois. L'oprelvekin est associé à des effets secondaires, dont les plus courants sont l'œdème (enflure), la sensation de malaise et des épisodes de fièvre légère qui posent problème chez les patients atteints de SMD en présence d'anémie symptomatique.

Le romiplostim (Nplate®) a reçu l'approbation de la FDA pour la thrombocytopenie chez les patients qui souffrent de purpura thrombocytopenique immunitaire chronique, une maladie caractérisée par une destruction accélérée des plaquettes ou par leur production insuffisante. Le romiplostim est une protéine recombinante administrée en injection sous-cutanée hebdomadaire. Il appartient à une classe d'agents appelés agonistes des récepteurs de la thrombopoïétine et il agit en stimulant des récepteurs situés sur des cellules spécifiques de la moelle osseuse appelées mégacaryocytes, ce qui fait augmenter la numération plaquettaire. Dans une étude sur des patients atteints de SMD de risque faible souffrant de thrombocytopenie, le romiplostim a donné lieu chez 18 patients (41 %) à une réponse plaquettaire durable qui a duré en moyenne 23 semaines. Plusieurs études de phase II actuellement en cours sur des patients atteints de SMD évaluent les bienfaits du romiplostim sur la thrombocytopenie. À l'heure actuelle, son utilisation n'est pas recommandée chez les patientes atteintes de cancer du sein ou les patients présentant une maladie précancéreuse comme le SMD.

Les agents modifiant la maladie sont des traitements qui ont le pouvoir de modifier les anomalies sous-jacentes à l'origine du SMD. Ils peuvent changer l'histoire naturelle de la maladie et prolonger la survie. La décision de commencer un traitement par agent modifiant la maladie dépend de certains critères courants, tels que la dépendance aux transfusions, l'augmentation du pourcentage de blastes, une catégorie de risque plus élevée et des cytopénies progressives ou symptomatiques.

Agents approuvés par Santé Canada pour le traitement des syndromes myélodysplasiques

| | Azacitidine | Décitabine <small>Non approuvée pour utilisation au Canada, pourrait être offerte dans le cadre d'essais cliniques</small> | Lénalidomide |
|------------------------------------|--|---|--|
| Indication | Les 5 sous-types FAB (ARa, ARSCa, AREB, LMMC, AREB-t) | Risque int-1, int-2, élevé selon l'IPSS et SMD | SMD dépendant des transfusions de risque faible/int-1 avec del(5q) et avec ou sans autres anomalies chromosomiques |
| Classe de médicament | Agent hypométhylant | Agent hypométhylant | Agent immunomodulateur (IMiD) |
| Essais cliniques | CALGB 9221, phase I/II CALGB 8421 continuation de la phase II (2000) Efficacité et innocuité établies AZA-001, multicentrique international de phase III SMD de risque int-2 et élevé Premières données sur la survie avec des traitements actifs dans le SMD | D-0007, phase I/II (2003) Efficacité et innocuité établies Essai ADOPT (2007) multicentrique, randomisé de phase III Nouvelles lignes directrices posologiques établies Décitabine 20 mg/m ² I.V. administrée en 1 heure aux jours 1-5 Traitement extrahospitalier possible | MDS-001, phase I/II (2002) Efficacité et innocuité établies MDS-003, essai multicentrique de phase II sur la lénalidomide dans le SMD del(5q); l'efficacité et l'innocuité ont permis l'approbation par la FDA MDS-002, essai multicentrique de phase II sur la lénalidomide dans le SMD de risque faible/int-1 non-del(5q). Activité confirmée dans le SMD non-del(5q); innocuité et efficacité confirmées |
| Paramètres principaux (IWG) | Amélioration de la survie globale Amélioration hématologique Autonomie transfusionnelle Réponse cytogénétique Innocuité et efficacité | Amélioration hématologique Autonomie transfusionnelle Réponse cytogénétique Innocuité et efficacité | Amélioration hématologique Autonomie transfusionnelle Réponse cytogénétique Innocuité et efficacité |
| Effets secondaires courants | Myélosuppression (effet le plus courant) Réactions au point d'injection Nausées et vomissements Constipation Contre-indiquée chez les patients porteurs de tumeurs hépatiques Utilisation prudente dans l'insuffisance rénale Peut causer du tort au fœtus | Myélosuppression (effet le plus courant) Nausées et vomissements Constipation Hyperbilirubinémie Utilisation prudente dans l'insuffisance rénale Peut causer du tort au fœtus | Myélosuppression (effet le plus courant) Érythème cutané Diarrhée Requiert ajustement de dose pour insuffisance rénale Non tératogène lors d'études animales Analogue de la thalidomide Doit être prescrite par l'entremise du programme de sécurité RevAid Peut causer du tort au fœtus |
| Conditions d'utilisation | S.C. ou I.V. x 7 jours Tous les 28 jours Hospitalisation non requise Traiter jusqu'à toxicité inacceptable ou progression de la maladie | I.V. chaque jour pendant 5 jours en 1 heure Tous les 28 jours Hospitalisation non requise Traiter jusqu'à toxicité inacceptable ou progression de la maladie | 10 mg par voie orale, jours 1-21 Tous les 28 jours Traiter jusqu'à toxicité inacceptable ou progression de la maladie |

Agents hypométhylants

L'hyperméthylation, qui est une accumulation de composés appelés groupes méthyles sur des portions d'ADN, serait l'un des facteurs en jeu dans l'apparition du SMD et de la leucémie. Ces composés seraient responsables du silençage (non-expression) des gènes nécessaires au développement normal et à la maturation des cellules sanguines. L'hyperméthylation est un processus continu. Les agents hypométhylants, médicaments qui bloquent les composés méthyles, se sont révélés capables d'améliorer le développement des cellules sanguines normales (hématopoïèse) chez les patients atteints de SMD, en permettant aux gènes réduits au silence d'être lus de nouveau. Il existe actuellement deux agents hypométhylants: la 5-azacitidine (azacitidine) et la 5-aza-2-désoxycytidine (décitabine).

Azacitidine (Vidaza®) www.vidaza.com

L'azacitidine est le premier médicament approuvé par la FDA spécifiquement pour le traitement du SMD. On l'administre en injection sous-cutanée (sous la peau) ou intraveineuse (I.V.). Les schémas posologiques intraveineux et sous-cutanés sont les mêmes. Plusieurs essais cliniques ont montré que, comparativement aux patients qui n'avaient pas reçu d'azacitidine, les patients atteints de SMD traités au moyen d'une injection sous-cutanée d'azacitidine chaque jour pendant sept jours toutes les quatre semaines manifestaient des améliorations hématologiques durables: augmentation des globules rouges et de l'autonomie transfusionnelle, augmentation de l'hémoglobine, augmentation des numérations de globules blancs ou de plaquettes et/ou baisse du pourcentage de blastes dans la moelle osseuse. Tous les patients des essais cliniques ont reçu des soins de soutien qu'ils aient été ou non sous azacitidine. Dans certains essais cliniques, l'apparition de la LMA (transformation leucémique) a été significativement retardée chez les patients traités par azacitidine comparativement aux patients qui ne recevaient pas cet agent. Les résultats d'une grande étude de phase III auprès de 358 patients atteints de SMD de risque supérieur (score IPSS intermédiaire-2 ou élevé) ont montré que comparativement au traitement classique (soit chimiothérapie à faible dose plus soins de soutien ou chimiothérapie standard plus soins de soutien), le traitement par azacitidine a significativement prolongé la survie globale (24,4 mois versus 15 mois). Des schémas posologiques plus pratiques (cinq jours par voie sous-cutanée) et une brève perfusion intraveineuse d'azacitidine ont aussi fait l'objet d'études. Les effets secondaires les plus courants observés avec l'azacitidine sont la myélosuppression, les nausées, la constipation et les réactions au point d'injection. Une préparation orale a été mise au point et fait actuellement l'objet d'essais cliniques.

Décitabine (Dacogen®) www.dacogen.com

La décitabine (aussi appelée 5-désoxiazacytidine) est un agent hypométhylant de l'ADN, comme l'azacitidine, et agit comme cette dernière. En d'autres mots, la décitabine réduit la méthylation de l'ADN et rétablit le fonctionnement normal des gènes suppresseurs de tumeurs dans le SMD. Les résultats favorables d'un essai clinique majeur de phase III qui a comparé la décitabine aux soins de soutien chez des patients atteints de SMD ont révélé que parmi les 170 patients atteints de SMD de risque intermédiaire à élevé qui y ont participé, un taux de réponse globale significativement supérieur a été observé chez ceux qui recevaient la décitabine, les réponses ayant duré environ dix mois: 17 % de réponse chez les patients traités par décitabine, contre 0 % chez les patients traités de la façon standard. Les patients qui ont répondu à la décitabine sont devenus ou sont demeurés indépendants des transfusions. De plus, les patients qui ont manifesté une réponse (complète ou partielle) à la décitabine ont connu un délai plus long avant la transformation leucémique et une survie prolongée comparativement aux patients qui bénéficiaient de soins de soutien seulement. Les effets secondaires les plus fréquents observés avec la décitabine sont la myélosuppression, les nausées et la constipation.

Agents immunomodulateurs www.revlimid.com

Les agents immunomodulateurs sont une forme de traitement modifiant la maladie qui cible le microenvironnement médullaire et les éléments anormaux des cellules myélodysplasiques (clones malins). Revlimid® (lénalidomide) est approuvé aux États-Unis pour les patients atteints de SMD de risque faible ou intermédiaire-1 qui souffrent d'anémie, particulièrement en présence d'une anomalie 5q- et d'une dépendance transfusionnelle. La lénalidomide est administrée par voie orale et présentée sous forme de capsules. Les observations d'une étude déterminante sur des patients traités par lénalidomide pour un SMD accompagné d'une anémie symptomatique et d'une délétion chromosomique 5q ont révélé que 67 % des patients qui étaient au départ dépendants des transfusions de culots globulaires ont obtenu une autonomie transfusionnelle et neuf autres pour cent ont vu leurs besoins transfusionnels diminuer de 50 % ou plus. En outre, une réponse cytogénétique complète (c. à d. anomalies chromosomiques devenues indétectables) a été observée

chez 45 % des patients. Au cours de cette étude, la réponse à la lénalidomide a été rapide (temps de réponse moyen de 4,6 semaines) et durable. La plupart des patients ont reçu une dose quotidienne constante de 10 mg de lénalidomide. Certains patients ont éprouvé des effets secondaires tels qu'érythème cutané, démangeaisons, fatigue, diarrhée et nausées. Étant donné que la lénalidomide est un analogue de la thalidomide (substance chimique similaire), son utilisation s'accompagne d'un risque d'anomalies congénitales. En raison de ce risque, le fabricant de la lénalidomide, Celgene Corp., a mis sur pied un programme de distribution contrôlée appelé RevAid. Seuls les patients inscrits qui répondent à toutes les exigences du programme peuvent recevoir le médicament. Lors d'une étude sur des patients atteints de SMD sans anomalie du chromosome 5q-, la lénalidomide s'est révélée capable de réduire les besoins en transfusions de culots globulaires chez 43 % des patients et d'éliminer le recours aux transfusions chez 26 % des patients. La majorité des patients présentaient un fardeau transfusionnel imposant (deux unités de culots globulaires ou plus par mois).

Agents immunosuppresseurs

Même s'ils ne sont pas actuellement approuvés par Santé Canada, les agents immunosuppresseurs pour le traitement du SMD peuvent être utilisés chez les patients présentant un SMD de risque faible ou hypocellulaire dans le contexte des essais cliniques et dans certaines situations cliniques spécifiques.

RevAid: programme de distribution contrôlée qui surveille les étapes cruciales afin de veiller à ce que les exigences soient respectées avant que Revlimid ne soit servi. Les prescripteurs de Revlimid doivent être inscrits au programme.

Cyclosporine: utilisée principalement pour prévenir le rejet par le système immunitaire. À faibles doses, elle peut être utilisée pour le traitement du SMD hypocellulaire ou du SMD accompagné d'anémie réfractaire (AR).

Globuline antithymocyte (GAT): agent induisant la déplétion (l'épuisement) des lymphocytes T; elle existe sous deux formes: GAT de lapin ou de cheval. On l'utilise dans certains cas de SMD précis, mais il faut l'administrer sous surveillance étroite dans un établissement de santé pour vérifier les réactions anaphylactiques.

Alemtuzumab (Campath): anticorps dirigé contre le récepteur CD52 présent sur de nombreuses cellules immunitaires à maturité, y compris les lymphocytes T et B; on l'utilise surtout dans le contexte des essais cliniques.

Chimiothérapie d'induction

Chez un patient qui présente un SMD de risque supérieur, la maladie est plus susceptible de se transformer en leucémie myéloïde aiguë (LMA). C'est pourquoi votre médecin pourrait recommander une chimiothérapie d'induction (intensive, à dose élevée) pour « induire » la maîtrise du SMD en détruisant les cellules myélodysplasiques. Dans le SMD, la chimiothérapie d'induction ou intensive fait référence à des schémas d'association cytotoxiques (qui détruisent les cellules), comme pour la LMA. La chimiothérapie intensive peut aussi être appropriée chez les patients qui présentent un risque faible et intermédiaire-1, dont la maladie progresse, qui ont 60 ans ou moins et qui ont un bon état de santé général.

La chimiothérapie provoque des effets secondaires importants, dont les plus courants sont notamment la perte des cheveux, les plaies à la bouche, les nausées, les vomissements, la diarrhée et les infections. On peut utiliser différents agents antinéoplasiques (anticancéreux) seuls ou ensemble. Tous ces schémas affectent les cellules normales de l'organisme en plus des cellules de SMD. Pour cette raison, ce type de traitement requiert généralement une hospitalisation de quelques jours à quelques semaines selon la tolérance et la rapidité à laquelle la moelle osseuse et les autres cellules de l'organisme se rétablissent. Il faut alors administrer des soins de soutien énergiques, notamment des transfusions, des liquides intraveineux, des antibiotiques, des suppléments nutritionnels, des analgésiques et un soutien psychosocial durant l'hospitalisation.

Lorsqu'apparaîtront les signes d'un rétablissement médullaire (amélioration de vos numérations) et une amélioration des effets secondaires du traitement, vous recevrez votre congé et vous serez suivi en externe. On répétera ensuite la ponction et biopsie de moelle osseuse, soit durant l'hospitalisation, soit après le congé hospitalier pour vérifier l'efficacité du traitement. À mesure que les cellules normales prolifèrent, la fréquence des transfusions diminue, tout comme le risque d'infection. Malheureusement, les chances de maîtriser le SMD au moyen de la chimiothérapie d'induction ne s'élèvent qu'à environ 30 %. Même dans les cas favorables, la maladie revient souvent en l'espace de 12 mois. C'est pourquoi on administre une chimiothérapie intensive seulement à une minorité de patients atteints de SMD.

Références:

- Kurtin, S. (2011) *J Adv Pract Oncol*, 2 (Suppl. 2), 7-18
Ridgeway, J. et coll. (2012) *Clin J Oncol Nurs*, 16 (3, Suppl. 1), 9-22

Les soins palliatifs ont pour principal objectif de soulager la douleur et la détresse des personnes malades.

Qu'entend-on par soins palliatifs pour le SMD?

Le syndrome myélodysplasique (SMD) peut avoir des effets sur le corps, les pensées et le moral. Ni les patients atteints de SMD ni leurs aidants ni leurs proches ne sont à l'abri de ces difficultés, et ce, peu importe le stade de la maladie. Les soins palliatifs pour les patients atteints de SMD peuvent donc commencer dès qu'ils reçoivent le diagnostic de la maladie. La majorité des oncologues intégreront des éléments de soins palliatifs dans les soins quotidiens qu'ils prescrivent. Les soins palliatifs peuvent être utiles sur plusieurs plans:

- Décisions thérapeutiques difficiles
- Symptômes physiques: par exemple, douleur, nausées, vomissements, diarrhée, constipation, fatigue, besoins nutritionnels, etc.
- Détresse émotionnelle: par exemple, dépression ou anxiété
- Besoins sociaux
- Orientation financière
- Aide spirituelle

L'équipe des soins palliatifs

L'équipe des soins palliatifs travaillera avec le patient et ses aidants pour reconnaître ses besoins et ses craintes et pour établir ses objectifs. La médecine palliative applique une approche de soins pluridisciplinaires et compte sur la collaboration entre le corps médical, la pharmacie, le personnel infirmier, l'aumônerie et les services de travail social, de psychologie et autres pour formuler le plan de soins le plus apte à soulager la souffrance du patient, sous toutes ses formes. L'approche pluridisciplinaire permet à l'équipe de soins palliatifs de combler les besoins physiques, psychologiques, spirituels et sociaux qui peuvent surgir à mesure que la maladie progresse ou quand la maladie est incurable. Certains centres ou cliniques d'oncologie ont des équipes de soins palliatifs spécialisées. D'autres peuvent avoir accès sur demande à du personnel dûment formé. Une équipe de soins palliatifs peut inclure entre autres:

- Médecin
- Personnel infirmier ou auxiliaires médicaux
- Personnel infirmier spécialisé en oncologie
- Travailleurs sociaux
- Clinique de la douleur
- Aumônier ou autres services d'aide spirituelle
- Nutritionniste
- Physiothérapeute
- Conseiller financier

Selon une étude, des patients atteints d'un cancer du poumon qui ont reçu des soins palliatifs dès les premiers stades de leur maladie ont eu une meilleure qualité de vie, ont moins souffert de dépression et ont vécu plus longtemps que les patients qui n'avaient pas reçu ce type de soins. Même s'il faut approfondir la recherche sur les soins palliatifs chez les patients atteints de SMD, cette étude donne à penser que s'ils sont amorcés dès les premiers stades de la maladie, par exemple dans le SMD, les soins palliatifs peuvent aider les patients. Les soins palliatifs n'ont pas une visée curative dans le SMD, mais ils peuvent améliorer les chances de survie du simple fait qu'ils aident le patient et ses proches à se préparer pour la suite et qu'ils leur offrent du soutien.

Qu'est-ce qu'une greffe de moelle osseuse?

Une greffe de moelle osseuse (GMO), aussi appelée greffe de cellules souches ou greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH), suppose un traitement de chimiothérapie à forte dose et parfois de radiothérapie, suivi d'une perfusion de cellules souches (cellules progénitrices). Ces cellules souches ont la capacité de restaurer le fonctionnement de la moelle osseuse (voir: *Que fait la moelle osseuse?*). Cette intervention comporte des risques significatifs. Donc, même si la greffe de moelle osseuse offre un potentiel curatif pour le SMD, on ne la propose en réalité qu'à une faible proportion de patients adultes atteints de SMD.

Greffe de moelle osseuse

La greffe de moelle osseuse allogénique est actuellement la seule option thérapeutique susceptible d'éliminer complètement le clone myélodysplasique malin (cellules « usines » myélodysplasiques) de la moelle osseuse. L'élimination du clone myélodysplasique est nécessaire pour « guérir » le SMD. En tant que seule mesure curative pour le SMD, la greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) allogénique doit être envisagée chez les patients qui y sont candidats et dont la maladie comporte un risque élevé (voir: *Suis-je un candidat pour une greffe de moelle osseuse?*). La greffe de moelle osseuse allogénique représente la forme de traitement la plus agressive et ne convient pas à la plupart des patients atteints de SMD.

Il existe deux types de greffe: autologue et allogénique. Les cellules souches autologues sont prélevées chez le patient lui-même et utilisées pour sa greffe. Les cellules souches allogéniques proviennent d'une autre personne aussi bien assortie que possible au plan génétique. Il s'agit habituellement d'un frère ou d'une sœur, mais aussi parfois d'un donneur volontaire non apparenté. Dans le SMD, la greffe de cellules souches allogéniques est la plus fréquente.

Ces cellules souches allogéniques sont généralement obtenues à partir de la circulation sanguine du donneur après que ce dernier ait reçu un médicament pour stimuler la production des cellules souches. On parle alors de cellules souches de sang périphérique mobilisées. Dans de rares cas, on recueille les cellules à partir de la moelle osseuse du donneur. Ce sont dans ce cas des cellules souches de moelle osseuse ou médullaires.

Vous subirez un test de groupage des antigènes des leucocytes humains (ou HLA, de l'anglais *human leucocyte antigens*) qui déterminera votre profil. Il s'agit d'une simple analyse sanguine, mais c'est le moyen indispensable pour trouver la « compatibilité » parfaite en vue de votre greffe. Les antigènes HLA sont des protéines, ou des marqueurs, que l'on retrouve à la surface de la plupart des cellules de l'organisme. Votre système immunitaire utilise ces marqueurs pour distinguer les cellules qui vous appartiennent de celles qui vous sont étrangères. Le groupage HLA sert à établir la compatibilité entre les patients et les donneurs en vue de greffes de cellules souches et de moelle osseuse.

Suis-je un candidat pour une greffe de la moelle osseuse?

La première étape d'une greffe de moelle osseuse consiste à déterminer si vous êtes un bon candidat à ce type de traitement. Votre médecin et votre équipe soignante évalueront plusieurs facteurs qui constituent les critères d'admissibilité, dont les plus courants sont:

- âge inférieur à 65 ans (certains centres y font exception)
- disponibilité d'un donneur compatible HLA-identique
- bonne santé cardiaque, pulmonaire, hépatique et rénale
- candidat physiquement actif et autonome au plan des activités quotidiennes

Suis-je un candidat à la GMO?



Diverses ressources peuvent vous aider à comprendre en quoi consiste la greffe de moelle osseuse dans le SMD, dont les suivantes:

- National Marrow Donor Program (NMDP) www.marrow.org
- Blood and Marrow Transplantation Information Network www.bmtinfonet.org
- National Coalitions for Cancer Survivorship www.canceradvocacy.org/toolbox
- Réseau canadien de moelle et de cellules souches UniVie www.onematch.ca
- Be The Match www.marrow.org

La greffe de moelle osseuse repose sur un processus complexe qui compte plusieurs étapes. Il est important que vous et vos aidants vous familiarisiez avec chacune des étapes du processus. Cela vous aidera à planifier votre temps, vos ressources et les aspects pour lesquels vous pourriez avoir besoin d'aide.

1. **Traitement pré-greffe** – Il est toujours préférable que votre SMD soit bien contrôlé avant de procéder à la greffe. Cela nécessitera un traitement modifiant la maladie.
2. **Évaluation en vue de la greffe** – (voir: *Évaluation en vue d'une greffe de moelle osseuse*)
3. **Recherche d'un donneur** – Pendant votre évaluation en vue de la greffe, on vous demandera si vous avez des frères ou sœurs qui seraient des donneurs potentiels, faute de quoi on lancera une recherche pour trouver un donneur non apparenté. Ceci peut prendre de quelques jours à quelques mois et, dans certains cas, on ne trouve pas de donneur. Le meilleur donneur est celui qui sera compatible avec tous vos marqueurs ADN. Dans certains cas, on pourra considérer des donneurs même s'ils ne sont pas compatibles avec tous les marqueurs ADN. Ce type de greffe (compatibilité imparfaite) comporte des risques plus grands.
4. **Signature du consentement préadmission** – Une fois qu'un donneur a été trouvé, vous reviendrez au centre de greffe avec votre aidant désigné pour une visite préhospitalisation. Cette visite dure habituellement plus d'une heure et inclura une discussion de fond sur les risques et les bienfaits possibles de la greffe pour vous. Il est important que vous ou vos aidants prépariez vos questions en vue de cette visite. Si vous optez pour la greffe, vous signerez un formulaire de consentement avant d'être hospitalisé pour l'intervention elle-même.
5. **Schéma de conditionnement** – Avant de procéder à la greffe, vous devrez recevoir une chimiothérapie à dose élevée pour éliminer les éléments restants de votre moelle osseuse qui hébergent le clone myélodysplasique. De cette façon, les cellules souches reçues de votre donneur pourront repeupler votre moelle osseuse avec de nouvelles cellules « usines » (cellules progénitrices). Cette phase du traitement requiert une hospitalisation de plusieurs semaines au centre de greffe de moelle osseuse.
6. **Perfusion des cellules souches** – Le jour de la greffe, qui constitue le « Jour 0 », les cellules souches du donneur sont perfusées par un accès veineux central. La perfusion en soi peut durer jusqu'à une heure, selon le nombre de sacs de produit de CSH (cellules souches hématopoïétiques) à administrer. D'autres mesures pourraient être prises en marge de la perfusion, telles que l'hydratation, ce qui fait que l'intervention durera toute une journée.
7. **Prise de greffe** – La remontée des numérations cellulaires, qui coïncide avec la « prise » de la greffe, sera le premier signe que les cellules souches transplantées ont peuplé votre moelle osseuse et commencent à fabriquer les éléments de votre sang. La prise de greffe est confirmée lorsque la numération absolue des neutrophiles atteint $> 0,5 \times 10^9/L$ pendant trois jours consécutifs ou $> 1,0 \times 10^9/L$ pendant une journée et que les plaquettes demeurent $> 20,0 \times 10^9/L$ sans transfusion pendant au moins sept jours.
8. **Gestion des effets secondaires de la greffe** – Les greffes de cellules souches allogéniques sont associées à plusieurs effets secondaires liés au traitement, pendant et après la greffe. Ces effets secondaires vous seront expliqués à vous et à vos aidants lors de la visite préalable à la greffe.

Évaluation en vue d'une greffe de moelle osseuse

Au Canada, le coût de la greffe est assumé par les régimes d'assurance maladie provinciaux. Vous pourriez devoir vous rendre dans une autre province pour subir votre greffe de moelle osseuse.

On peut trouver en ligne un répertoire des centres de greffe de moelle osseuse:

- BMT Information Network www.bmtinfonet.org
- The National Marrow Donor Program (NMDP) www.marrow.org
- The Center for International Blood and Marrow Transplant Research www.cibmtr.org
- Réseau canadien de moelle et de cellules souches UniVie www.onematch.ca

Évaluation en vue d'une greffe de moelle osseuse

Une fois que vous avez localisé le centre de greffe, vous y serez adressé pour une consultation et un examen formels. Ce processus peut s'échelonner sur plusieurs jours et inclura un certain nombre d'analyses sanguines, d'examen radiographiques, de tests respiratoires, de même qu'une ponction et biopsie de moelle osseuse. Vous rencontrerez les membres de l'équipe de transplantation, composée du médecin responsable, du personnel infirmier et de professionnels en travail social et en diététique. Cette visite de sélection vise à confirmer que la greffe de moelle osseuse est la meilleure option thérapeutique pour vous.

Quelles questions dois-je poser au médecin chargé de ma greffe de moelle osseuse?

Vous et vos aidants pouvez avoir plusieurs questions à poser aux membres de l'équipe de transplantation:

1. Ce programme est-il agréé par la *Foundation for Accreditation of Cellular Therapy* (FACT)? (Agence chargée de l'inspection rigoureuse des programmes de greffe et de certifier la qualité des soins dispensés.)
2. Quels tests devrai-je subir avant la greffe?
3. L'hébergement est-il accessible au voisinage du centre en vue des soins post-greffe et pendant combien de temps est-il recommandé ou nécessaire de rester sur place?
4. Quelle est l'expérience de l'équipe de transplantation en matière de traitement des patients atteints de SMD?
5. L'établissement fournit-il une aide financière supplémentaire pour les coûts non assurés?
6. Quelle est la durée habituelle du séjour hospitalier pendant la greffe?
7. À quelle fréquence devrai-je me rendre à la clinique après mon congé?
8. Le programme de greffe offre-t-il un service de suivi à long terme pour m'aider si des problèmes de santé surviennent des mois ou des années après la greffe?
9. Y a-t-il des services d'aide psychologique pour moi, mon donneur, mes aidants et mes proches?
10. Quel est le taux de succès du centre en ce qui concerne les greffes de cellules souches?
11. Qu'attend-on des aidants?

Que sont les essais cliniques?

Les essais cliniques proposent une option thérapeutique administrée dans le contexte d'un protocole de recherche. Les essais cliniques comportent plusieurs avantages notables:

1. Ils sont importants pour la mise au point de nouveaux traitements pour le SMD et d'autres maladies.
2. Ils aident à améliorer les techniques diagnostiques.
3. Ils permettent de reconnaître de nouvelles cibles pour les traitements.
4. Ils peuvent offrir des options thérapeutiques qui ne seraient pas accessibles autrement.
5. Ils aident à raffiner les stratégies thérapeutiques existantes, par exemple, ils ont permis la révision de l'outil IPSS pour le SMD, qui est devenu l'IPSS-R (voir: *Mon score IPSS-R*).
6. Ils aident à améliorer la gestion des effets secondaires.
7. Ils permettent de faire de la recherche sur la qualité de vie tout en étudiant une maladie ou son traitement.

À propos des
essais cliniques



Il existe des essais cliniques de quatre phases distinctes:

| | |
|-----------|--|
| Phase I | Il s'agit de la première fois qu'un médicament est administré à des êtres humains. L'essai est conçu pour établir la dose, la voie d'administration (orale, intraveineuse ou par injection) et la posologie (le nombre de fois par jour ou par semaine). Pendant cette phase, les chercheurs commencent aussi à confirmer l'innocuité (sécurité) du médicament. L'essai de phase I est généralement réalisé chez des adultes en bonne santé et ne regroupe qu'un petit nombre de personnes (de 15 à 30). |
| Phase II | Des patients atteints de la maladie reçoivent le médicament aux doses déterminées à la phase précédente. L'essai de phase II commence à mesurer l'efficacité du médicament et fournit des renseignements sur son innocuité. Les essais de phase II incluent généralement moins de 100 personnes. |
| Phase III | Le médicament est testé seul ou en comparaison avec un médicament standard approuvé. L'essai de phase III typique recrute un nombre important de patients (de 100 à des milliers). Il s'agit d'un essai comparatif: les patients seront assignés au hasard soit au nouveau médicament, soit à une intervention standard. |
| Phase IV | À la phase IV, le médicament déjà approuvé par Santé Canada est disponible sur le marché et fait l'objet d'une évaluation continue auprès d'un nombre important de patients (de plusieurs centaines à plusieurs milliers). La désignation phase IV est rare. |

Certains essais, tels que les essais de sélection et les études sur les soins de soutien ou la prévention, ne comportent pas ces phases. Dans ce type d'essais, on compare entre eux un groupe témoin et un groupe qui est soumis à une stratégie en vue de lutter contre la maladie, par exemple, une méthode de dépistage ou un changement de comportement.

Comment réalise-t-on un essai clinique?

Les essais cliniques sont réalisés dans un établissement spécifique ou dans le cadre d'une collaboration entre plusieurs établissements. Chaque essai est mené par un chercheur responsable, ou investigateur principal (IP). Vous pourriez rencontrer d'autres membres de l'équipe de recherche si vous participez à un essai clinique. Tous les membres de l'équipe s'assurent que votre traitement est conforme aux directives du protocole de l'essai et veillent à votre sécurité.

Composition de l'équipe de recherche

1. Médecin, chercheur ou infirmière de recherche responsable: investigateur principal (IP)
2. Autres cliniciens: médecins, infirmières praticiennes ou chercheurs (investigateurs adjoints)
3. Statisticiens
4. Infirmières de recherche
5. Gestionnaires de données

Comment les essais cliniques sont-ils supervisés?

Les essais cliniques pour les traitements contre le cancer sont supervisés par plusieurs groupes dont les objectifs principaux sont de veiller à la sécurité des patients et de maintenir des normes scientifiques rigoureuses. Ces groupes passent en revue chaque essai clinique avant que le recrutement des patients ne puisse commencer.

- **Comité d'examen de l'établissement:** Groupe d'experts de l'établissement chargé de réaliser l'essai ou des établissements participant à la collaboration qui passe en revue chaque essai pour assurer la sécurité des patients et vérifier sa validité scientifique. Avec l'investigateur principal et l'équipe de recherche, le comité d'examen continue de superviser la conduite de l'essai jusqu'à la fin.
- **Comité d'examen scientifique:** Comité d'experts qui passe en revue les essais cliniques afin de s'assurer qu'ils reposent sur de solides bases scientifiques.
- **Comité de surveillance des données et de la sécurité:** Comité indépendant composé de médecins, chercheurs, statisticiens et autres experts.
- **National Cancer Institute (NCI) et National Institutes of Health (NIH) (aux États-Unis):** Supervisent certains essais cliniques et maintiennent un registre des essais inscrits. www.clinicaltrials.gov

Éléments clés d'un essai clinique

Protection des patients: La sécurité des patients est au cœur de tous les essais cliniques. Les risques et avantages potentiels de chaque essai sont soigneusement passés en revue par plusieurs groupes. On vous remettra un formulaire de consentement qui explique les risques et avantages de l'essai clinique en détail. La protection des renseignements personnels du patient est également un élément clé de sa sécurité. Les données recueillies dans le cadre de l'essai clinique identifient les patients au moyen d'un code numérique et ne sont transmises qu'aux membres de l'équipe de recherche qui ont signé une entente de confidentialité.

Consentement éclairé: Avant que vous ne puissiez participer à un essai clinique, l'équipe de recherche doit vous fournir des renseignements détaillés à propos de l'essai, y compris son but, ses avantages et risques potentiels, le plan de traitement (protocole et calendrier), et au sujet de votre droit de vous en retirer à n'importe quel moment. Vous êtes encouragé à poser des questions durant cette discussion pour vous assurer de bien comprendre en quoi consiste l'essai. Vous signerez ensuite le formulaire de consentement qui renferme ces renseignements. Il atteste de votre consentement éclairé.

Suis-je un candidat à un essai clinique?

Chaque essai clinique comporte ses propres critères d'admissibilité. Ces critères sont établis en fonction des objectifs spécifiques de la recherche et ont pour but d'assurer la sécurité des patients. Avant qu'on vous inscrive à l'étude, il y aura une étape de sélection qui permettra de vérifier si vous répondez aux critères d'admissibilité. Vous subirez d'autres tests après avoir signé le formulaire de consentement éclairé de participation à l'essai clinique. Dans certains cas, après l'obtention des résultats, il arrive qu'un patient ne réponde pas aux critères d'admissibilité à l'essai et qu'il ne puisse pas recevoir le traitement.

Quelles questions dois-je poser au sujet de ma participation à un essai clinique?

C'est habituellement au cours du processus de consentement éclairé que l'on répond à ces questions.

1. Quelle est la raison d'être de cet essai clinique?
2. Quels sont les bienfaits potentiels de l'essai?
3. Quels sont les risques potentiels de l'essai?
4. À quoi dois-je m'attendre concrètement pendant ma participation à l'essai (fréquence des visites, types de tests, durée des visites)?
5. Si j'ai des effets secondaires, avec qui dois-je communiquer?
6. Combien en coûte-t-il pour participer à l'essai?
7. Quelles sont mes autres options thérapeutiques si je ne participe pas à l'essai clinique?
8. Pendant combien de temps ferai-je partie de l'essai?
9. Qu'arrive-t-il si le traitement ne fonctionne pas?

Renseignements sur les essais cliniques et l'approbation des médicaments

Agence européenne des médicaments

Agence décentralisée pour l'Union européenne, installée à Londres; responsable de l'évaluation scientifique des médicaments mis au point par les sociétés pharmaceutiques en vue de leur utilisation sur le territoire de l'Union européenne. www.ema.europa.eu

Santé Canada

Fournit les avis de conformité (AC) en vue de l'approbation complète des nouveaux médicaments ou les avis de conformité avec conditions au Canada. www.hc-sc.gc.ca

National Cancer Institute, National Institutes of Health

Registre et base de données des résultats d'essais cliniques subventionnés par le gouvernement fédéral et l'entreprise privée réalisés aux États-Unis et ailleurs dans le monde. www.clinicaltrials.gov

National Institute of Health and Clinical Excellence

Guide sur le rapport coût-efficacité des traitements en Angleterre et au pays de Galles www.nice.org.uk

Nordic MDS Group

Fournit des lignes directrices en ligne pour la prise en charge du SMD dans les pays nordiques et des renseignements pour les patients dans toutes les langues parlées dans les pays nordiques www.nmds.org

Pharmaceuticals and Medical Devices Agency

Instance de réglementation qui régit la mise en marché des médicaments au Japon www.pmda.go.jp

Therapeutic Goods Administration

Département du ministère de la Santé et du Vieillessement du gouvernement australien; responsable de la réglementation des produits thérapeutiques, y compris des médicaments, des instruments médicaux, du sang et des produits sanguins www.tga.gov.au

U.S. Food and Drug Administration

Instance responsable de l'approbation de mise en marché des traitements aux États-Unis www.fda.gov

Un nombre croissant de médicaments expérimentaux font l'objet de recherches et sont évalués pour leur utilisation potentielle dans le traitement du SMD. De nombreux essais sont conçus pour trouver de nouvelles cibles à l'intérieur du clone myélodysplasique ou dans le microenvironnement médullaire. (Voir: *Qu'arrive-t-il à la moelle osseuse dans le SMD?*) D'autres essais portent sur des façons de combiner les traitements actuellement disponibles à certains nouveaux agents. En utilisant ensemble des médicaments qui agissent sur plus d'une cible, on espère mettre au point un traitement plus efficace que l'un ou l'autre utilisé seul. La participation à un essai clinique peut vous offrir une option thérapeutique qui, autrement, ne vous serait pas accessible. Informez-vous auprès de votre médecin pour savoir si certains essais cliniques représenteraient une option qui convient dans votre cas. Les Centres d'excellence de la MDS Foundation proposent des options pour une participation aux essais cliniques. Les essais cliniques accessibles dans chaque centre peuvent varier. Pour d'autres renseignements au sujet des essais cliniques, on peut communiquer avec la MDS Foundation Inc. à l'adresse www.MDS-Foundation.org ou avec les National Institutes of Health au www.clinicaltrials.gov.

Référence:

Kurtin, S. et coll. (2012) *Clin J Oncol Nurs*, 16S, 3, 58-64
National Institutes of Health @ www.clinicaltrials.gov

Le SMD est-il fréquent chez les enfants?

Le SMD affecte surtout les personnes âgées (la plupart des patients ont plus de 65 ans), mais il peut affecter des patients plus jeunes également. Chez les enfants, le SMD est rare (de 1 à 4 cas par million par année). L'âge médian au moment où la maladie apparaît chez les enfants est de 6,8 ans. On l'observe autant chez les garçons que chez les filles.

Par quoi le SMD est-il causé chez les enfants?

Un SMD peut survenir chez un enfant par ailleurs en bonne santé. Certains enfants naîtraient avec une prédisposition au SMD. Cette tendance ou ce facteur préexistant fonctionnerait comme un commutateur susceptible d'être déclenché par des éléments externes. Les facteurs préexistants les plus courants dans le SMD sont des syndromes congénitaux (présents à la naissance) et génétiques (programmés dans les cellules). Ils s'observent dans environ 50 % des cas pédiatriques. Si aucun facteur externe ne peut être identifié, on parle alors d'un « SMD primaire ».

Le SMD peut également affecter les enfants qui ont une maladie préexistante connue. Il s'agit dans ce cas-là d'un « SMD secondaire ». Le SMD secondaire s'observe chez les enfants qui ont subi une chimiothérapie ou une radiothérapie pour un autre cancer. Les enfants qui prennent des antinéoplasiques ou qui reçoivent de la radiothérapie pour des cancers potentiellement curables sont exposés à un risque à l'égard d'un SMD secondaire pendant une période allant jusqu'à dix ans suivant le traitement.

Le SMD secondaire s'observe aussi en présence d'une insuffisance héréditaire de la moelle osseuse, comme l'anémie de Fanconi ou l'anémie de Blackfan-Diamond, avec l'anémie aplasique acquise, de même que dans les cas de SMD familiaux. Quoiqu'extrêmement rare, une prédisposition au SMD peut s'observer dans certaines familles. Il est en effet très peu fréquent que des membres d'une même famille, y compris des frères et sœurs, reçoivent un diagnostic de SMD. Les facteurs associés à l'apparition d'un SMD infantile sont énumérés ci-dessous

Facteurs et conditions pouvant prédisposer les enfants au SMD

- Insuffisance médullaire constitutionnelle
- Anémie de Fanconi
- Syndrome de Kostmann
- Anémie de Blackfan-Diamond
- Maladie de Shwachman
- Syndrome de Down (trisomie 21)
- Mutations liées à la neurofibromatose de type 1 (NF1)
- Trisomie 8 en mosaïque (certaines cellules ont une copie excédentaire du chromosome 8)
- Neutropénie congénitale sévère
- Syndrome de Bloom
- Syndrome de Noonan
- Syndrome de Dubowitz
- Cytopathie mitochondriale
- SMD/leucémie familiaux
- Anémie aplasique idiopathique
- Antécédents de chimiothérapie (SMD induit par les traitements)

On n'a établi aucun lien entre des produits alimentaires ou agricoles et le SMD. Les enfants et leurs familles craignent souvent que le SMD soit contagieux. Rien n'indique qu'un virus soit à l'origine du SMD et le SMD ne peut pas être transmis aux proches.

Quels sont les symptômes du SMD chez les enfants?

Aux premiers stades d'un SMD, les enfants peuvent ne présenter absolument aucun symptôme. Une analyse sanguine de routine révèle fortuitement la présence de cytopénies (faibles numérations sanguines). Parfois, les numérations de globules blancs et de plaquettes sont basses, tandis que l'hématocrite demeure normal. Les enfants atteints de SMD peuvent présenter des symptômes non spécifiques, comme pâleur, fatigue, pétéchies (petites taches violacées sur la peau) ou infections à répétition. Dans certains cas, des symptômes plus graves, comme de l'essoufflement, de la faiblesse ou des saignements s'observent.

Le SMD est-il fatal?

L'incapacité de la moelle osseuse à fabriquer des cellules saines à maturité est un processus graduel. Par conséquent, le SMD n'est pas nécessairement une maladie fatale. Toutefois, certains enfants qui reçoivent un diagnostic de SMD succomberont aux effets directs de la maladie et à leur insuffisance médullaire progressive tandis que d'autres peuvent évoluer vers une leucémie myéloïde (LMA) chronique.

Chez l'enfant, le SMD varie au plan de l'évolution de la maladie et de son issue. Par exemple, certains enfants qui souffrent de cytopénie réfractaire ou d'AREB légère peuvent demeurer stables pendant des mois, voire des années, alors que d'autres verront leur état s'aggraver rapidement. La monosomie 7 chez les enfants n'est pas associée à un pronostic sombre, comme chez les adultes. Toutefois, selon quelques études, les enfants porteurs d'une monosomie 7 évoluent plus tôt vers une LMA.

Quelle est la gravité du SMD de mon enfant?

Il est très important de classifier le SMD avec précision pour prédire l'évolution de la maladie chez l'enfant; il s'agit d'un guide essentiel pour l'hématologue lors du choix du traitement optimal. Étant donné que l'évolution de la maladie peut varier considérablement d'un patient à l'autre, des systèmes de classification ont été mis au point pour établir différents « sous-types » de syndromes myélodysplasiques chez l'enfant, et plusieurs découlent de ceux qui ont été créés pour le SMD chez l'adulte. (Voir: *Quelle est la gravité de mon SMD?*)

Le système de classification de l'Organisation mondiale de la santé (OMS) pour la maladie chez l'adulte a été révisé de façon à ce qu'il soit plus facile à appliquer aux SMD infantiles. La classification de l'OMS modifiée pour les SMD infantiles distingue trois grands groupes de troubles myélodysplasiques et myéloprolifératifs: (1) SMD de type adulte, (2) troubles liés au syndrome de Down et (3) leucémie myéломonocytaire juvénile (LMMJ).

Classification révisée de l'Organisation mondiale de la santé pour les syndromes myélodysplasiques infantiles (2008)

Syndromes myélodysplasiques

- Cytopénie réfractaire (CR) – blastes sanguins < 2 %, blastes médullaires < 5 %
- Anémie réfractaire avec excès de blastes (AREB) – blastes sanguins > 2 % et blastes médullaires 5 % à 19 %
- Anémie réfractaire avec excès de blastes en transformation (AREB-t) – blastes médullaires 20 % à 29 %
- LMA avec anomalies liées aux SMD – blastes du sang périphérique ou de la moelle osseuse > 20 %

Maladie myélodysplasique/myéloproliférative

- Leucémie myéломonocytaire juvénile (LMMJ)

Syndrome de Down

- Myélopoïèse anormale transitoire
- Leucémie myéloïde du syndrome de Down

Syndrome de Down

Environ 10 % des nouveau-nés atteints du syndrome de Down souffrent éventuellement d'un trouble myéloprolifératif transitoire (TMT). En présence de TMT, un nombre anormalement élevé de globules blancs immatures circulent dans le sang. La plupart des enfants porteurs d'un TMT se rétabliront en l'espace de quelques semaines. Quelques-uns évolueront vers une forme de leucémie myéloïde aiguë (LMA) appelée LMA-M7. La leucémie myéloïde chez les enfants atteints du syndrome de Down est liée au SMD, mais possède ses propres caractéristiques distinctives.

Les blastes de presque tous ces enfants présentent une anomalie spécifique affectant le gène qui régit le développement normal des globules rouges et des plaquettes. Cette mutation peut se révéler utile pour poser le diagnostic de la maladie. La LMA-M7 est très sensible à la chimiothérapie. Les enfants qui présentent un TMT et, éventuellement une LMA-M7, répondent bien à la chimiothérapie pour la LMA.

Leucémie myélomonocytaire juvénile (LMMJ)

Le terme LMMJ englobe d'autres leucémies infantiles que l'on nommait autrefois leucémie myéloïde chronique juvénile, leucémie myélomonocytaire chronique et syndrome de monosomie 7 infantile. La LMMJ survient en général à un très jeune âge (avant l'âge de deux ans) et elle est plus fréquente chez les garçons que chez les filles. Elle représenterait environ 25 % de tous les cas de SMD infantiles. La LMMJ est souvent associée à d'autres maladies héréditaires et d'autres syndromes d'insuffisance médullaire. Dans la LMMJ, de nombreuses cellules souches médullaires forment deux types de globules blancs: des monocytes et des myélocytes. Or, certaines de ces cellules demeurent immatures (blastes) et ne peuvent s'acquitter de leurs tâches normales; elles s'accumulent dans la moelle osseuse et empêchent la fabrication de globules rouges et de globules blancs, ce qui peut entraîner de l'anémie et prédisposer l'enfant aux infections.

Les patients atteints de LMMJ évoluent différemment selon certains facteurs, tels que l'âge au moment du diagnostic, le nombre de plaquettes sanguines, le taux d'hémoglobine fœtale ou les anomalies chromosomiques.

Comment traite-t-on le SMD infantile?

Il faut tenir compte de plusieurs éléments pour traiter le SMD infantile (voir: *Principes généraux du traitement du SMD*). De nombreuses stratégies utilisées pour le traitement du SMD chez l'adulte font l'objet d'études cliniques chez les enfants (voir: *Essais cliniques*). La greffe de cellules souches hématopoïétiques allogénique (G-CSH) constitue la meilleure option curative (voir: *Greffe de moelle osseuse*).

En quoi le SMD infantile est-il différent du SMD chez l'adulte?

| Critères | SMD adulte | SMD infantile |
|--|--------------------------|------------------------|
| Incidence (millions de cas/an) | > 30 | 0,5 – 4 |
| Anémie réfractaire avec sidéroblastes en couronne (ARSC) | 20 % – 25 % | < 2 % |
| Aberrations cytogénétiques | 30 % – 50 % | 50 % |
| Mutation du gène Ras | Courante | Rare |
| Anomalie du chromosome 5q- | 20 % | < 2 % |
| Observé en présence de la monosomie 7 | 8 % – 10 % | 30 % |
| But du traitement | Habituellement palliatif | Habituellement curatif |

Sources de renseignements sur les SMD et les cancers chez les enfants

Alex's Lemonade Stand

Collecte de fonds et sensibilisation aux causes des cancers pédiatriques, principalement pour la recherche sur de nouveaux remèdes et traitements

www.alexlemonade.org

American Cancer Society

250 Williams Street, NW

Atlanta, GA 30303

800 ACS-2345

www.cancer.org

American Society of Pediatric Hematology/Oncology (ASPHO)

4700 W. Lake Avenue

Glenview, IL 60025

847 375-4716

847 375-6475 téléc.

www.aspho.org

Aplastic Anemia & MDS International Foundation

100 Parl Avenue, Suite 108

Rockville, MD 20850

301 279-7202

800 747-2820

www.aamds.org

Blood & Marrow Transplant Information Network

2900 Skokie Valley Road, Suite B

Highland Park, IL 60035

847 433-3313 or 888 597-7674

847 433-4599 fax

www.bmtinonet.org

Candlelighters Childhood Cancer Foundation

Centre d'information et de sensibilisation; vient en aide aux enfants atteints de cancer et à leurs familles et appuie la recherche

www.candlelighters.org

Childhood Leukemia Foundation

Vient en aide aux enfants atteints de cancer et à leurs familles

www.clf4kids.com

EWOG (European Working Oncology Group)

www.ewog-mds.org

JMML Foundation

9921 Carmel Mountain Road #170

San Diego, CA 92129

858 243-4651

www.jmmlfoundation.org

National Marrow Donor Program

3001 Broadway Street N.E., Suite 100

Minneapolis, MN 55413

800 MARROW2 (800 627-7692)

www.marrow.org

National Cancer Institute's Physician Data Query (PDQ) Comprehensive Cancer Database

Inclut des résumés sur la maladie et le traitement pour les principaux cancers chez l'enfant, dont le SMD

www.cancer.gov/cancertopics/pdq/cancerdatabase

National Cancer Institute's Clinical Trials Database

Répertoire des essais cliniques sur tous les types de cancers, y compris le SMD

www.cancer.gov/clinicaltrials

Pediatric Oncology Resource Center

Ressources pour les parents, les amis et les familles d'enfants atteints de cancer

www.acor.org/ped-onc

The Leukemia & Lymphoma Society

1311 Mamaroneck Avenue, Suite 130

White Plains, NY 10605

800 955-4572

www.leukemia.org

The MDS Foundation, Inc.

4573 South Broad Street, Suite 150

Yardville, NJ 08620

800 MDS-0839 (aux États-Unis seulement)

609 298-1035 (à l'extérieur des États-Unis)

609 298-0590 télécopieur

www.mds-foundation.org

CONSEILS PRATIQUES

Pour vous (ou votre être cher), vivre avec le SMD peut s'accompagner de différents symptômes. Les conseils pratiques proposés dans cette section de la brochure Les bases de l'espoir incluent des directives pour surveiller les symptômes et les signaler aux professionnels de la santé, au besoin. Cette section offre aussi des stratégies très pratiques pour prévenir les symptômes plus graves

collaborateurs à la rédaction

MENTORS

MDS Foundation International Nurse Leadership Board

Sandra Kurtin
Jean Ridgeway
Jayshree Shah
Mary Thomas
Sara Tinsley

The Meniscus Educational Institute


Karen Abbas

MENTORÉS

Nikki Barkett
Rochelle Chiffelle
Angela Flowers
Christopher Flowers
Denice Gibson
Carol Guarnieri
Cynthia G. Paul
Patrice Welsh-Benjamin

CONSEILS PRATIQUES

| | |
|--|----|
| Anémie et SMD | 3 |
| Neutropénie et SMD | 5 |
| Thrombocytopénie et SMD | 7 |
| Fièvre | 9 |
| Suivi de mes numérations sanguines | 10 |
| Diarrhée | 11 |
| Constipation | 12 |
| Nausées et vomissements | 13 |
| Réactions au point d'injection | 15 |
| Éruptions cutanées | 17 |
| Fatigue | 18 |
| Anxiété | 19 |
| Dépression | 20 |
| Quand dois-je appeler mon professionnel de la santé? | 21 |
| Références | 22 |



Définition: L'anémie résulte d'une diminution du nombre de globules rouges disponibles dans la circulation sanguine pour transporter l'oxygène vers tous les tissus de l'organisme. Toutes les cellules de l'organisme ont besoin d'oxygène pour croître, s'acquitter de leurs tâches spécifiques et se multiplier. Lorsque le nombre de globules rouges tombe sous un certain seuil, la quantité d'oxygène transportée diminue, de sorte que les cellules et les tissus ne reçoivent pas suffisamment d'oxygène. Sans oxygène pour fournir l'énergie nécessaire à leurs tâches spécifiques, les cellules deviennent moins efficaces et elles se fatiguent.

L'anémie est un symptôme fréquent chez les patients atteints de SMD en raison d'une fabrication anormale des globules rouges dans la moelle osseuse. L'anémie peut affecter différemment chaque personne selon son état de santé général, son âge et la gravité de son anémie. Les patients anémiques éprouvent généralement de la fatigue et se disent constamment épuisés ou en manque d'énergie. L'anémie varie en intensité. En présence d'anémie légère, les patients peuvent se sentir bien ou juste un peu fatigués. Dans l'anémie modérée, presque tous les patients éprouvent de la fatigue, ce qui s'accompagne parfois de palpitations cardiaques, d'essoufflement et de pâleur. Dans l'anémie grave, la plupart des patients ont le teint pâle et se plaignent de fatigue chronique accablante et d'essoufflement. Étant donné que l'anémie grave réduit l'apport sanguin vers le cœur, les patients plus âgés sont plus susceptibles de manifester des symptômes cardiovasculaires, par exemple des douleurs à la poitrine. Même si l'anémie chronique est rarement fatale, elle peut réduire considérablement la qualité de vie d'un patient.

Symptômes d'anémie:

- Essoufflement (surtout à l'effort)
- Palpitations (battements cardiaques irréguliers)
- Pâleur
- Confusion mentale ou troubles de la concentration
- Vertiges ou étourdissements, surtout en position debout
- Sensation de fatigue et/ou de faiblesse
- Fréquence cardiaque rapide (tachycardie)
- Douleur à la poitrine
- Maux de tête

Comment mesure-t-on l'anémie?

L'anémie se caractérise par un hémocrite (volume des globules rouges dans le sang par rapport au volume de sang total de l'organisme) ou un taux d'hémoglobine (protéine sanguine chargée du transport de l'oxygène vers tous les tissus de l'organisme) qui demeurent bas.

L'hémoglobine est mesurée dans un échantillon de sang et le taux s'exprime en grammes par décilitre ou g/dL. La valeur normale de l'hémoglobine varie selon l'âge et le sexe. L'anémie survient lorsque les taux d'hémoglobine diminuent à moins de 12,0 g/dL pour les femmes et de 13,0 g/dL pour les hommes. La gravité de l'anémie est classée selon les taux d'hémoglobine suivants:

- **Anémie légère**—hémoglobine entre 9,5 et 13,0 g/dL
- **Anémie modérée**—hémoglobine entre 8,0 et 9,5 g/dL
- **Anémie sévère**—hémoglobine inférieure à 8,0 g/dL

Comme l'hémoglobine, on mesure l'hématocrite dans un échantillon de sang. L'hématocrite correspond à la fraction du sang composée de globules rouges par rapport au volume sanguin total et s'exprime en pourcentage. Les personnes qui ont un volume élevé de plasma (portion liquide du sang) peuvent être anémiques, même si leur numération de globules rouges est normale, parce que les globules se trouvent dilués. Comme l'hémoglobine, l'hématocrite normal varie selon l'âge et le sexe. Chez l'adulte, les valeurs de l'hématocrite qui correspondent à l'anémie sont généralement inférieures à 39 % chez l'homme et inférieures à 36 % chez la femme.

Recommandations que votre professionnel de la santé pourrait formuler:

- Votre professionnel de la santé pourrait vous recommander des transfusions de culots globulaires (globules rouges) pour soulager vos symptômes d'anémie. Les transfusions de culots globulaires sont considérées comme une forme de soin de soutien. Elles ne changent en rien les caractéristiques du SMD. Les bienfaits des transfusions de culots globulaires sont temporaires, de sorte qu'il faut parfois les administrer à répétition. Le nombre et la fréquence de transfusions de culots globulaires varie d'une personne à l'autre en fonction de la gravité des symptômes, des caractéristiques du SMD et des autres traitements qui sont administrés.
- Votre médecin pourrait vous recommander des facteurs de croissance érythrocytaires, comme l'érythropoïétine, pour essayer de stimuler votre moelle osseuse afin qu'elle fabrique plus de globules rouges. Vous pouvez discuter de ces options avec votre médecin. Si des injections sont prescrites, assurez-vous de les recevoir au moment prévu.

Ce que vous pouvez faire:

1. Informez votre médecin si vous vous sentez plus essoufflé, si vous éprouvez des douleurs à la poitrine ou des palpitations.
2. Respectez tous les rendez-vous prévus.
3. Notez dans un dossier vos numérations sanguines, votre type sanguin et les anticorps dont vous êtes porteur, le cas échéant, les dates de vos transfusions et les symptômes que vous auriez pu éprouver avant ou après l'administration des transfusions ou du facteur de croissance (voir: *Mon plan SMD*).
4. Sachez doser l'exercice et le repos.
5. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Rester en santé—Vivre avec des numérations sanguines basses



Définition: La neutropénie correspond à une baisse du nombre des neutrophiles. Les neutrophiles sont un type de globules blancs qui aident à lutter contre les infections courantes. Lorsque les taux de neutrophiles ou de globules blancs baissent sous la normale, vous pouvez être exposé à un risque accru à l'égard des infections.

Au moment du diagnostic, la neutropénie est moins fréquente que l'anémie chez les patients atteints de SMD. Chez les patients qui reçoivent des traitements modifiant la maladie pour leur SMD, la numération des globules blancs et, en retour, la numération absolue des neutrophiles (NAN), sont souvent à la baisse au cours des premiers mois de traitement.

Comment mesure-t-on la neutropénie?

Les neutrophiles sont le type de globules blancs le plus abondant. Ils forment normalement de 60 % à 70 % des globules blancs. La gravité de la neutropénie est estimée selon la numération absolue des neutrophiles (NAN). La valeur normale des globules blancs est de 3,5 à $10 \times 10^9/L$ et la NAN normale est de 1,5 à $8,0 \times 10^9/L$. On calcule la NAN au moyen de la formule suivante:

$$\text{NAN} = \text{globules blancs} \times \% \text{ de neutrophiles}$$

Souvent, la NAN est incluse dans le rapport des analyses de laboratoire. Vous pouvez demander à votre professionnel de la santé de vous aider à trouver ou à calculer ce chiffre. La gravité de la neutropénie (en fonction de la NAN) est établie selon les résultats des analyses effectuées sur des échantillons de sang périphérique:

- **Neutropénie légère:** NAN $1,0 - 1,5 \times 10^9/L$
- **Neutropénie modérée:** NAN $0,5 - 1,0 \times 10^9/L$
- **Neutropénie grave:** NAN $< 0,5 \times 10^9/L$

La neutropénie fébrile est considérée comme une urgence médicale et il faut en informer immédiatement votre professionnel de la santé. La neutropénie fébrile s'observe lorsque la NAN est $< 1,0 \times 10^9/L$ et que votre température corporelle est $> 38,5 \text{ }^\circ\text{C}$ ($101,4 \text{ }^\circ\text{F}$) ou lorsque la température se maintient à $> 38,0 \text{ }^\circ\text{C}$ ($100,4 \text{ }^\circ\text{F}$) pendant plus d'une heure. Demandez à votre équipe soignante avec qui vous devez communiquer, de quelle façon et dans quelles circonstances vous devez chercher une assistance médicale immédiate.

Symptômes de neutropénie fébrile:

- Augmentation de la température corporelle (fièvre)
- Infections fréquentes ou persistantes
- Baisse de la tension artérielle
- Frissons et tremblements

Recommandations que votre professionnel de la santé pourrait formuler:

- Votre professionnel de la santé pourrait vous recommander l'administration de facteurs de croissance leucocytaires pour atténuer la gravité ou réduire la durée de la neutropénie.
- L'administration d'antibiotiques en prophylaxie n'est pas couramment recommandée chez la plupart des patients; mais elle l'est chez certains patients exposés à un risque plus grand.
- En cas de neutropénie grave, il faut parfois modifier le traitement pour le SMD, soit en changeant la dose, soit en suspendant temporairement le médicament jusqu'à la remontée des numérations de neutrophiles.

Ce que vous pouvez faire:

1. Informez votre médecin si vous présentez de la fièvre alors que votre NAN est $< 1,0 \times 10^9/L$. Si vous n'êtes pas certain de votre NAN, demandez à votre équipe soignante des directives sur les circonstances où vous devriez signaler un épisode de fièvre.
2. Respectez tous les rendez-vous prévus.
3. Ayez un thermomètre fonctionnel à la maison
4. Notez vos numérations sanguines, y compris vos taux de globules blancs et votre NAN et tout symptôme, tel que fièvre, frissons ou infections.
5. Lavez-vous souvent les mains.
6. Évitez les personnes manifestement malades.
7. Évitez les foules dans des endroits clos; cela ne signifie pas que vous ne pouvez pas sortir. Demandez à votre équipe soignante quels endroits vous devez éviter, par exemple les buffets, les centres commerciaux bondés ou les salles de concert.
8. Évitez de consommer des viandes crues ou des produits laitiers non pasteurisés.
9. Lavez bien tous les fruits et légumes avant de les consommer.
10. Maintenez une bonne hygiène; prenez un bain quotidien, ayez une bonne hygiène dentaire, lavez-vous après être allé à la selle ou avoir uriné et lavez-vous les mains souvent.
11. Hydratez-vous bien.
12. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Définition: La thrombocytopénie est une diminution du nombre de plaquettes (thrombocytes) dans le sang. Les plaquettes contribuent à l'arrêt des saignements en s'agglutinant et en formant des bouchons dans les brèches de vaisseaux sanguins lésés (coagulation). Les plaquettes participent également au maintien de la santé normale des vaisseaux sanguins dans l'organisme. La thrombocytopénie fait augmenter le risque de saignements ou d'ecchymoses (bleus).

La thrombocytopénie est moins fréquente que l'anémie chez les patients atteints de SMD. Les plaquettes sont fabriquées dans la moelle osseuse à partir de la même cellule « usine » (cellule souche myéloïde). La cellule souche myéloïde fabrique des mégacaryocytes qui, en retour, produisent des milliers de plaquettes chaque jour. Dans le SMD, les mégacaryocytes sont souvent anormaux (dysplasiques) et fabriquent trop peu de plaquettes (thrombocytopénie), trop de plaquettes (thrombocytose) ou des plaquettes dysfonctionnelles. Les mégacaryocytes ne sont présents que dans la moelle osseuse et on ne peut pas les mesurer dans un spécimen de sang périphérique.

Le principal risque qui guette les patients atteints de thrombocytopénie est l'hémorragie. Le risque hémorragique est lié à la gravité de la thrombocytopénie. Certains médicaments peuvent exacerber les risques de saignements, comme les anticoagulants (qui « éclaircissent » le sang), l'aspirine et d'autres anti-inflammatoires.

Comment mesure-t-on la thrombocytopénie?

La thrombocytopénie se caractérise par une numération plaquettaire sous la normale. Les taux de plaquettes normaux se situent entre 150 et $450 \times 10^9/L$. La gravité de la thrombocytopénie se mesure en fonction des taux de plaquettes mesurés dans un échantillon de sang périphérique:

- **Thrombocytopénie légère:** numération plaquettaire de $50 - 100 \times 10^9/L$
- **Thrombocytopénie modérée:** numération plaquettaire de $25 - 50 \times 10^9/L$
- **Thrombocytopénie grave:** numération plaquettaire inférieure à $25 \times 10^9/L$

Symptômes de thrombocytopénie:

- Présence de sang dans l'urine ou les selles
- Saignements de nez
- Pétéchies (petites taches rouges violacées sur la peau)
- Ecchymoses excessives lors des activités quotidiennes normales
- Saignements des gencives
- Coupures qui n'arrêtent pas de saigner
- Sang dans les expectorations

Recommandations que votre professionnel de la santé pourrait formuler:

- Votre professionnel de la santé pourrait recommander des transfusions plaquettaires lorsque le taux de plaquettes est inférieur à $10 \times 10^9/L$ ou à des taux supérieurs chez les patients présentant des facteurs de risque additionnels, par exemple, s'ils ont subi une chirurgie récente. On peut administrer des transfusions de plaquettes pour réduire le risque de saignements. Ces transfusions sont considérées comme une forme de soin de soutien. Elles ne modifient pas les caractéristiques du SMD. Les avantages des transfusions plaquettaires sont temporaires (heures), de sorte qu'il faut parfois les administrer à répétition. Le nombre et la fréquence des transfusions plaquettaires varieront pour chaque personne selon la gravité des symptômes, les caractéristiques du SMD et les autres traitements administrés.

- Votre médecin vous recommandera de cesser de prendre tout médicament susceptible d'interférer avec la fonction plaquettaire (aspirine) ou qui empêche la coagulation par le biais d'autres mécanismes (anticoagulants, comme Coumadin, Plavix et l'héparine). On suspend généralement l'administration de ces médicaments lorsque la numération plaquettaire diminue à moins de $50 \times 10^9/L$.
- À l'heure actuelle, il n'existe pas de facteur de croissance approuvé par la FDA pour le traitement de la thrombocytopénie chez les patients atteints de SMD. Des médicaments utilisés pour la thrombocytopénie attribuable à d'autres causes font actuellement l'objet d'essais cliniques chez des patients atteints de SMD et de thrombocytopénie.
- Si la thrombocytopénie est marquée, il est parfois nécessaire de modifier le traitement pour le SMD en changeant la dose ou en suspendant temporairement l'administration du médicament jusqu'à ce que la numération plaquettaire remonte.

Ce que vous pouvez faire:

1. Informez votre médecin si vous présentez des ecchymoses inhabituelles, des saignements incontrôlables ou si vous avez des pétéchies.
2. Respectez tous les rendez-vous prévus.
3. Notez en dossier vos numérations sanguines, la date de vos transfusions et tout symptôme présent avant et après les transfusions.
4. Évitez la consommation excessive d'alcool qui peut contribuer à la dysfonction plaquettaire.
5. Évitez les blessures (chutes, coupures, éraflures) et les activités susceptibles d'entraîner des ecchymoses ou des saignements, comme les sports de contact et l'haltérophilie intensive.
6. Évitez la constipation ou les efforts pour aller à la selle.
7. Utilisez une brosse à dents souple.
8. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Définition: Température corporelle supérieure à la normale. La fièvre peut être causée par des infections ou elle peut être un effet secondaire de certains agents antinéoplasiques utilisés pour traiter le SMD. Demandez à vos professionnels de la santé dans quelles circonstances vous devez signaler un épisode de fièvre et le type de thermomètre qu'il est préférable d'utiliser. Il est essentiel de traiter rapidement les patients atteints de SMD qui présentent de la fièvre afin d'éviter le risque d'infections plus graves (voir: *Conseils pratiques: Neutropénie*). La température normale du corps peut augmenter d'un degré le soir.

Signes et symptômes de fièvre:

On recommande le plus souvent de vérifier la température dans les circonstances suivantes:

- Sensation de chaleur anormale
- Sensation de vertiges ou d'étourdissements
- Bouffées de chaleur (rougeur au visage)
- Température supérieure à la normale (normale = 37 °C)
- Baisse de la tension artérielle
- Frissons et tremblements (incapacité de se réchauffer malgré des couvertures, dents qui claquent)

Recommandations que votre professionnel de la santé pourrait formuler:

- Prenez votre température si vous présentez l'un ou l'autre des symptômes ci-dessus.
- Ne prenez des médicaments pour abaisser la fièvre (l'acétaminophène est le plus courant) qu'après avoir parlé avec votre équipe soignante.
- Il est important de boire beaucoup et de bien se reposer.

Ce que vous pouvez faire:

1. Ayez un thermomètre fonctionnel à la maison. Demandez à votre équipe soignante le type de thermomètre qu'il est préférable d'utiliser.
2. Hydratez-vous bien.
3. Notez en dossier vos numérations sanguines, y compris vos taux de globules blancs et votre NAN, tout symptôme, y compris les épisodes de fièvre, les frissons ou les infections (voir: *Mon plan SMD*).
4. Informez votre médecin si vous présentez de la fièvre alors que vos globules blancs ou votre NAN sont < 1 000/µL. Si vous n'êtes pas certain de votre NAN, demandez à votre équipe soignante des directives sur les circonstances où vous devez signaler un épisode de fièvre.
5. Informez le médecin ou l'infirmière praticienne de tout épisode de fièvre de plus de 38,0 °C qui dure plus d'une heure ou d'une mesure de la température > 38,3 °C (lignes directrices du NCCN).
6. Il faut signaler immédiatement le moindre épisode de frissons solennels, peu importe la température corporelle des patients, en présence de neutropénie (voir: *Conseils pratiques: Neutropénie*).
7. Respectez tous les rendez-vous prévus.
8. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Les numérations sanguines basses (cytopénies) sont fréquentes avec le SMD. L'anémie est la cytopénie la plus fréquente et pour cette raison, la majorité des patients atteints de SMD auront besoin de transfusions sanguines (voir: *Conseils pratiques: Anémie*). La dépendance aux transfusions (transfusions à répétition) est souvent le critère à partir duquel on envisagera un recours à des traitements modifiant la maladie ou à d'autres stratégies de soins de soutien. Une diminution du nombre de transfusions au cours d'une période de huit semaines (amélioration hématologique, selon les critères de l'International Working Group [IWG]) pourrait être le premier signe d'une réponse au traitement. Chaque patient atteint de SMD a des besoins transfusionnels différents et la fréquence des transfusions varie en conséquence. La réponse au traitement pour le SMD varie d'un patient à l'autre.

Un système intégré pour faire le suivi de vos numérations sanguines, de vos transfusions et de vos autres traitements pourrait vous aider à dégager des tendances et à observer votre progression. Vos analyses de laboratoire, vos visites cliniques et vos transfusions sanguines pourraient se dérouler à différents endroits.

Formule sanguine complète (FSC), différentielle et numération plaquettaire

| Numération sanguine | Éventail des valeurs normales | |
|---|---------------------------------|--------------------------|
| Globules blancs | 4,5 – 13,0 x 10 ⁹ /L | |
| Numération absolue des neutrophiles (NAN) (globules blancs x % segments + bâtonnets) | ≥ 1,5 x 10 ⁹ /L | |
| Hémoglobine (Hb) | Hommes: 13,5 – 17,5 g/dL | Femmes: 12,0 – 16,0 g/dL |
| Hématocrite (Ht) | Hommes: 41 % – 53 % | Femmes: 36 % – 46 % |
| Plaquettes | 150 – 350 x 10 ⁹ /L | |

Ce que vous pouvez faire:

1. Vous pouvez apporter avec vous à chaque visite le formulaire de suivi intégré à votre plan SMD (voir: *Mon plan SMD*).
2. Demandez à votre professionnel de la santé des copies de vos résultats d'analyses sanguines. Inscrivez les principaux résultats dans votre formulaire de suivi.
3. Notez la date de vos transfusions, le nombre d'unités et votre taux d'hémoglobine ou de plaquettes du moment.
4. Notez tout symptôme que vous avez éprouvé avant ou après l'administration des transfusions ou des injections de facteur de croissance.
5. Consultez aussi *Conseils pratiques pour: Anémie, Neutropénie et Thrombocytopénie*.

Définition: La diarrhée se définit par l'émission de selles fréquentes et liquides. La diarrhée peut être causée par des médicaments, des changements alimentaires et dans certains cas, par une infection. La gravité de la diarrhée dépend généralement du nombre de selles liquides émises par jour. Une diarrhée modérée se définit par quatre à six selles par jour. Une diarrhée grave se définit par plus de sept selles liquides par jour ou par de l'incontinence (ne pas arriver à temps à la salle de toilette). Les selles fréquentes, liquides ou aqueuses peuvent causer une déshydratation, de la faiblesse, une perte d'électrolytes nécessaires au bon fonctionnement de l'organisme, en plus d'endommager les reins.

Symptômes de diarrhée:

- Selles liquides
- Crampes et évacuation liquide explosive
- Douleur abdominale
- Selles liquides nauséabondes

Recommandations que votre professionnel de la santé peut formuler:

- Hydratez-vous. Buvez deux à trois litres de liquide par jour. Des liquides additionnés d'électrolytes sont parfois recommandés.
- Évitez les boissons énergisantes à forte teneur en sucre ou les jus de fruits, car ils peuvent aggraver la diarrhée.
- On peut recommander des médicaments contre la diarrhée. Demandez à votre équipe soignante quels médicaments seraient bons pour vous. Assurez-vous de vérifier quelle dose quotidienne de ces médicaments vous pouvez prendre sans danger.
- Une consultation en diététique peut être utile pour trouver une alimentation qui sera mieux adaptée pour vous.

Ce que vous pouvez faire:

1. Buvez deux à trois litres de liquide par jour; évitez la caféine ou les boissons à forte teneur en sucre.
2. Informez immédiatement votre équipe soignante si vous remarquez du sang dans vos selles, si vous présentez des crampes abdominales graves, de la fièvre ou des symptômes graves de diarrhée.
3. Consommez de plus petits repas plus fréquemment.
4. On recommande souvent une alimentation composée de bananes, de riz, de compote de pomme et de pain grillé, jusqu'à ce que les symptômes les plus graves se soient améliorés
5. Aliments à éviter: fibres alimentaires (riz brun, fruits, légumes, maïs éclaté, pains ou pâtes alimentaires de grains entiers), alcool, caféine, chocolat, aliments gras, produits laitiers renfermant du lactose.
6. Augmentez votre apport en aliments et en liquides à forte teneur en sodium et en potassium, par exemple, bouillons, soupes, boissons énergisantes, pommes de terre et craquelins.
7. Des suppléments de probiotiques (bactéries intestinales naturelles) ou des aliments en renfermant peuvent améliorer les symptômes de diarrhée.
8. Respectez tous les rendez-vous prévus.
9. Prenez note des symptômes qui vous inquiètent et parlez-en avec votre équipe soignante.
10. Prenez des bains chauds. Assurez-vous de vous sentir en sécurité et d'être capable d'entrer dans la baignoire et d'en ressortir tout seul. Si vous ne vous sentez pas en sécurité, demandez de l'aide.
11. Lavez-vous les mains après être allé à la toilette.
12. Maintenez une bonne hygiène; prenez un bain quotidien, ayez une bonne hygiène dentaire, lavez-vous après être allé à la selle ou avoir uriné et lavez-vous les mains souvent.
13. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Définition: La constipation est un problème désagréable, parfois douloureux, caractérisée par des selles peu fréquentes et une difficulté à aller à la selle. La constipation peut avoir de nombreuses causes, notamment: déshydratation, prise de médicaments (narcotiques en particulier), autres maladies comme le diabète, syndrome du côlon irritable, changements alimentaires, sédentarité et autres facteurs qui affectent souvent la régularité intestinale chez les adultes plus âgés. Les patients atteints de SMD peuvent souffrir de constipation par suite de leur traitement au moyen d'agents modifiant la maladie et de médicaments pour prévenir ou traiter les nausées.

Symptômes de constipation:

- Ballonnements
- Douleur à la défécation
- Baisse de l'appétit
- Nausées
- Selles petites et dures
- Sensation d'élimination intestinale incomplète
- Efforts pour aller à la selle
- Douleur au bas du dos ou à l'abdomen
- Fatigue
- Petites quantités de selles liquides, sans selles formées

Recommandations que votre professionnel de la santé peut formuler:

- Pratique quotidienne d'exercices, même la marche peut améliorer la motilité intestinale.
- Bonne hydratation: buvez deux à trois litres de liquide par jour.
- L'ajout de fruits et d'autres sources naturelles de fibres à votre alimentation peut améliorer la motilité intestinale.
- On recommande parfois des laxatifs et des amollisseurs de selles. Discutez avec votre équipe soignante des meilleures options pour vous.
- Les suppléments de fibres ne sont pas recommandés généralement pour la constipation puisqu'ils peuvent aggraver les symptômes.
- Les suppléments de probiotiques (bactéries intestinales naturelles) ou les aliments qui en contiennent peuvent améliorer la constipation.
- On ne recommande pas l'utilisation de suppositoires ou de lavements en présence de faible numération des globules blancs (neutropénie) ou de plaquettes (thrombocytopenie) en raison du risque d'infection ou de saignement.
- Une consultation en diététique peut vous être utile pour une alimentation qui sera mieux adaptée.

Ce que vous pouvez faire:

1. Restez actif.
2. Buvez deux à trois litres de liquide par jour.
3. Optez pour une alimentation riche en fruits, légumes et fibres naturelles.
4. Ne laissez pas s'écouler plus de trois jours sans aller à la selle. Parlez de ce problème avec votre équipe soignante.
5. Informez votre médecin si vous avez mal lorsque vous allez à la selle, s'il y a du sang dans vos selles, si vous avez des douleurs abdominales graves, des nausées persistantes ou des vomissements.
6. Respectez tous les rendez-vous prévus.
7. Tenez un journal des symptômes qui vous inquiètent et discutez-en avec votre équipe soignante.
8. Prenez des bains chauds. Assurez-vous de vous sentir en sécurité et d'être capable d'entrer dans la baignoire et d'en ressortir tout seul. Si vous ne vous sentez pas en sécurité, demandez de l'aide.
9. Lavez-vous les mains après être allé à la toilette.
10. Maintenez une bonne hygiène; prenez un bain quotidien, ayez une bonne hygiène dentaire, lavez-vous après être allé à la selle ou avoir uriné et lavez-vous les mains souvent.
11. Hydratez-vous bien.
12. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Définition: Les nausées sont un symptôme souvent décrit comme une sensation désagréable associée à des bouffées de chaleur, de la tachycardie et une envie de vomir.

Le vomissement est un phénomène déclenché par une contraction de l'abdomen, des muscles de la paroi thoracique et du diaphragme, suivi de l'expulsion du contenu de l'estomac.

Les nausées et/ou les vomissements peuvent être causés par différents problèmes, notamment:

- Constipation
- Médicaments, y compris la chimiothérapie
- Hoquet
- Sécheresse de la bouche
- Déshydratation
- Migraines
- Maladie cardiaque
- Odeurs
- Infections
- Déshydratation
- Acidité gastrique
- Anxiété

Symptômes souvent associés aux nausées ou aux vomissements:

- Sensation de chaleur ou de froid
- Douleur à la gorge
- Transpiration
- Fatigue
- Maux de tête
- Étourdissements
- Faiblesse
- Ballonnement
- Trouble du sommeil

Recommandations que votre professionnel de la santé peut formuler:

- Hydratez-vous bien; buvez deux ou trois litres de liquide par jour. Des liquides additionnés d'électrolytes peuvent être recommandés.
- Plusieurs médicaments sont utilisés couramment pour prévenir et/ou traiter les nausées et les vomissements. Ce sont des antiémétiques. Ils peuvent vous être administrés avant votre chimiothérapie ou ils peuvent vous être prescrits pour que vous les preniez à la maison. Les antiémétiques sont parfois administrés en injection intraveineuse ou sous-cutanée, mais on peut aussi les prendre par la bouche. Discutez avec votre équipe soignante des médicaments qui vous conviendraient le mieux.
- La prise de petits repas fréquents réduira le ballonnement et l'acidité gastrique.
- Une consultation en diététique peut être utile pour trouver une alimentation qui sera mieux adaptée pour vous.

Ce que vous pouvez faire:

1. Évitez de vous exposer à des odeurs fortes, y compris à des parfums.
2. Respectez tous les rendez-vous prévus.
3. Demandez de l'aide.
4. Vérifiez la quantité de chacun des types d'antiémétiques que vous pouvez prendre chaque jour sans danger et les effets secondaires qu'ils peuvent occasionner.
5. Certains des médicaments utilisés pour traiter ou prévenir les nausées et les vomissements peuvent accroître le risque de constipation. Consultez la rubrique *Conseils pratique: Constipation pour revoir les stratégies de prévention*.
6. Notez vos symptômes de nausées ou vos épisodes de vomissements. Parlez-en avec votre équipe soignante lors de votre visite suivante.

7. Si vous vomissez plus de cinq ou six fois au cours d'une période de 24 heures, si vous remarquez la présence de sang dans vos vomissements ou si vous n'êtes pas capable de garder les aliments ou les liquides que vous prenez, assurez-vous de communiquer immédiatement avec votre professionnel de la santé. Demandez-lui dans quelles circonstances et de quelle façon vous devez l'informer en cas de symptômes plus graves.
8. Buvez deux à trois litres de liquide par jour; évitez la caféine et les boissons à forte teneur en sucre.
9. Prenez de petits repas fréquents.
10. Aliments à éviter: aliments gras, mets huileux, aliments épicés, aliments difficiles à digérer (fruits fermes, viandes, fromages fermes, maïs éclaté), alcool, caféine, chocolat.
11. Évitez les aliments qui dégagent une odeur forte.
12. Augmentez votre consommation d'aliments et de liquides à forte teneur en sodium et en potassium, comme les bouillons, les soupes et les boissons énergisantes à faible teneur en sucre.
13. Brossez-vous les dents plus fréquemment et utilisez un rince-bouche sans alcool pour réduire les symptômes de sécheresse de la bouche et la sensation de goût désagréable.
14. Des suppléments de menthe et de gingembre se sont révélés utiles pour certains patients.
15. La relaxation, l'imagerie mentale et la méditation peuvent aider certains patients. Informez-vous auprès de l'équipe soignante au sujet des ressources qui vous sont accessibles.
16. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Définition: Irritation locale au point d'injection sous-cutanée (S.C.)

Lorsqu'un médicament est injecté dans les tissus sous-cutanés (couche adipeuse sous la peau), on parle d'injection sous-cutanée (S.C.). L'injection sous-cutanée de médicaments peut provoquer une sensation de brûlure pendant l'injection et elle peut causer une irritation ou une inflammation locale de la peau et des tissus mous. Dans la plupart des cas, ces réactions sont bénignes et indolores. Les réactions plus graves peuvent inclure la formation de bosses douloureuses ou toucher une zone de peau plus grande. On peut atténuer la gravité des réactions avec une technique d'administration et des soins de la peau appropriés. La plupart des réactions au point d'injection disparaissent complètement avec le temps. Ce type de réaction n'est pas considéré comme une réaction allergique.

Les réactions au point d'injection sont fréquentes lorsqu'on administre de l'azacitidine (Vidaza®) par voie S.C. La réaction la plus courante est une légère rougeur de la peau qui s'estompe avec le temps. Des réactions plus graves peuvent affecter certains patients.

Des réactions légères au point d'injection ont aussi été signalées chez les patients traités au moyen de facteurs de croissance administrés par voie S.C., dont Neupogen® (filgrastim), Neulasta® (pegfilgrastim) et Procrit® (érythropoïétine). La plupart des réactions cutanées disparaissent complètement avec le temps.

Tous les médicaments, y compris les médicaments administrés en injection S.C. peuvent causer des réactions allergiques. Les anomalies cutanées qui s'observent le plus souvent lors de réactions allergiques aux médicaments sont la rougeur (érythème) généralisée (systémique) et le prurit (démangeaison). En cas de réaction grave, la peau peut faire des phlyctènes (cloques) et peler. Ce type de réaction entraîne l'arrêt des médicaments incriminés et peut nécessiter une hospitalisation dans les cas les plus graves.

Symptômes de réaction au point d'injection:

| | |
|---|--|
| Réaction cutanée légère | Sécheresse, sensibilité, et fragilisation localisées de la peau. Indolore. Parfois accompagnée de prurit (démangeaison). |
| Réaction cutanée modérée | Rougeur et enflure localisées. Zone parfois douloureuse, ferme et élargie autour du point d'injection. Parfois accompagnée de prurit (démangeaison). |
| Réaction cutanée grave | Zone élargie de rougeur et d'enflure. Parfois accompagnée de phlyctènes (cloques), d'ulcérations ou de desquamation au point d'injection. Le plus souvent douloureuse. |
| Réaction allergique au médicament injecté par voie S.C. | Rougeur généralisée (systémique) affectant généralement le torse et les membres. |

Sélection du point d'injection pour le médicament

- Les injections sous-cutanées sont administrées dans des zones présentant une quantité adéquate de tissus adipeux (gras), où il est possible de saisir 2,5 cm (1 pouce) de peau: abdomen, partie arrière des bras, portion externe et supérieure des cuisses.
- Le fait d'alterner entre les différents sites permettra de limiter la gravité des réactions à un seul site et permettra au site précédent de guérir.
- Éviter les zones sujettes aux frictions, par exemple le tour de taille, afin de réduire la gravité des réactions au point d'injection.
- Il faut éviter les zones où il y a des cicatrices, des taches de naissance, des signes d'inflammation ou une lésion cutanée.
- L'utilisation de la technique « d'air en sandwich » peut aussi limiter la quantité du médicament qui entre en contact avec les tissus adipeux.

Technique d'injection: « air en sandwich »



Recommandations que votre professionnel de la santé peut formuler:

- Votre professionnel de la santé peut recommander la prise d'antihistaminiques oraux pour atténuer les démangeaisons et le grattage.
- On peut recommander une administration locale d'antihistaminiques ou de corticostéroïdes en crème pour réduire l'inflammation locale.
- L'application de compresses fraîches atténuera la sensation de brûlure. Évitez d'appliquer de la chaleur ou de la glace sur le point d'injection pendant quatre heures suivant l'injection, car cela pourrait interférer avec l'absorption adéquate du médicament et le rendre ainsi moins efficace.
- On recommande parfois la prise d'anti-inflammatoires par la bouche. Demandez à votre équipe soignante quel médicament vous conviendra le mieux.
- Revoquez tous les médicaments, les expositions environnementales (savons, détergents, parfums, lotions, etc.), les épisodes d'exposition au soleil et les transfusions pour identifier les causes possibles.
- Dans les cas plus graves, on recommande parfois une consultation en dermatologie, spécialité médicale qui s'intéresse au traitement des maladies de la peau.

Ce que vous pouvez faire:

1. Informez votre équipe soignante si vous présentez des réactions au point d'injection. L'infirmière qui vous administre votre médicament vérifiera les points d'injection avant d'administrer la dose suivante.
2. Évitez les points de friction, portez des vêtements amples, évitez de frictionner le site immédiatement après avoir reçu votre injection.
3. Évitez d'appliquer de la glace ou de la chaleur au point d'injection immédiatement après l'administration du médicament. La chaleur peut aggraver l'irritation et la glace peut ralentir l'absorption du médicament. Vous pouvez appliquer une compresse fraîche dans les deux heures qui suivent l'injection. Vous pouvez appliquer de la glace sans danger quatre heures après l'injection.
4. Portez des vêtements amples, faits de coton.
5. Évitez de vous gratter, de vous frictionner et de toucher cette zone de peau.
6. Respectez tous les rendez-vous prévus.
7. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Définition: Une éruption cutanée est un symptôme qui affecte la couleur, l'aspect ou la texture de la peau. Une éruption peut être localisée à une partie du corps ou affecter toute la surface cutanée. Une éruption cutanée est généralement causée par une irritation de la peau, consécutive à la chimiothérapie, à une allergie, à une infection ou à un problème dermatologique.

Signes et symptômes

L'érythème cutané peut être bénin, comme une rougeur ou un changement de couleur de la peau, avec ou sans bosse ou lésion emplie de liquide (pustule). Un érythème peut être localisé (à une région du corps) ou systémique (couvrant plusieurs régions du corps). Il n'est pas rare d'observer des plaques de peau sèche, des démangeaisons, une enflure légère et de la rougeur avec certains antinéoplasiques, comme la lénalidomide (Revlimid®) (Kurtin et Sokol, 2009). Ce type d'érythème cutané rentre graduellement dans l'ordre, sans que l'on ait à cesser le médicament. Dans de rares cas, les érythèmes cutanés sont plus prononcés et requièrent une hospitalisation.

Recommandations que votre professionnel de la santé pourrait formuler:

- Votre professionnel de la santé devra évaluer l'érythème pour déterminer sa cause la plus probable et sa gravité.
- On peut prescrire des antihistaminiques ou des crèmes de corticostéroïdes topiques pour atténuer l'irritation et les démangeaisons.
- Si vous présentez un type d'érythème quel qu'il soit, appelez votre professionnel de la santé. Il vous dira comment en prendre soin. Il est important que tous les érythèmes cutanés soient correctement identifiés.



éruption cutanée associée à Revlimid (lénalidomide)

Ce que vous pouvez faire:

1. Examinez votre peau tous les jours.
2. Évitez de vous exposer au soleil et utilisez des écrans solaires dotés d'un facteur de protection minimum de 15.
3. Portez des chapeaux, des verres fumés et couvrez votre peau le plus possible.
4. Utilisez des savons ni parfumés ni désodorisants, comme Dove, Aveeno ou Neutrogena.
5. Prenez des douches ou des bains tièdes, de courte durée, plutôt que de prendre de longues douches à l'eau chaude.
6. Utilisez régulièrement des crèmes, lotions et onguents à base de lanoline pour garder votre peau bien hydratée.
7. Évitez les parfums.

Gestion des effets secondaires du traitement



Définition: Lassitude inhabituelle qui interfère avec les activités normales et qui n'est soulagée ni par le repos ni par une bonne nuit de sommeil. La fatigue est parfois plus marquée chez les patients atteints de SMD qui souffrent aussi d'anémie. L'insomnie (trouble du sommeil) est fréquente chez les adultes âgés et peut contribuer à la fatigue. Parmi les autres facteurs qui contribuent à la fatigue, mentionnons: sédentarité, douleur, détresse psychologique, mauvaise alimentation et diverses maladies mal maîtrisées, comme le diabète ou les troubles de la thyroïde.

Symptômes de fatigue:

- Faiblesse physique
- Troubles de la concentration ou difficulté à prendre des décisions
- Difficulté à s'acquitter des tâches normales, par exemple cuisiner, faire le ménage, payer ses comptes et travailler
- Somnolence ou sensation d'épuisement
- Repli sur soi
- Temps plus long requis pour certaines activités de base comme le bain et la toilette

Recommandations que votre professionnel de la santé peut formuler:

- Votre professionnel de la santé peut demander des analyses de laboratoire pour déterminer quels facteurs sont susceptibles de contribuer à la fatigue, par exemple anémie, troubles de la thyroïde, déshydratation ou diabète.
- Si vous faites de l'anémie et que votre symptôme de fatigue en découle, votre professionnel de la santé peut vous prescrire une transfusion de culots globulaires.
- Certains médicaments ont été utilisés pour traiter la fatigue marquée. Toutefois, ils comportent des effets secondaires. Ils pourraient donc ne pas vous convenir. Parlez de votre fatigue à votre professionnel de la santé qui déterminera le traitement qui vous conviendra le mieux.

Ce que vous pouvez faire:

1. Restez actif dans la mesure du possible pour préserver votre force musculaire et améliorer votre énergie. Envisagez d'adopter une routine d'exercice, par exemple des marches quotidiennes avec un aidant ou un ami.
2. Faites la liste de vos activités quotidiennes. Établissez des priorités pour la journée et planifiez les activités prioritaires pour les périodes où votre niveau d'énergie est plus élevé.
3. Limitez vos siestes durant le jour à moins d'une heure pour prévenir les problèmes de sommeil nocturne.
4. Parlez à votre équipe soignante si vous éprouvez beaucoup d'anxiété ou une tristesse insurmontable.
5. Hydratez-vous bien.
6. Prenez de petits repas fréquents.
7. Vérifiez auprès de votre professionnel de la santé si vous n'avez pas besoin d'une transfusion compte tenu de vos symptômes et de votre taux d'hémoglobine.
8. N'hésitez pas à demander l'aide de votre famille et de vos amis.

Vos professionnels de la santé discuteront avec vous des risques et avantages de chaque option thérapeutique. Assurez-vous d'aborder avec votre équipe soignante toutes les préoccupations que vous pourriez avoir. Selon vos symptômes et selon ce que vous ressentez, certains changements pourraient être apportés pour améliorer votre confort.

Définition: L'anxiété est une réaction légitime pour quiconque apprend qu'il est atteint d'un SMD. On décrit l'anxiété comme une sensation vague, désagréable et inconfortable de danger imminent ou de détresse. Beaucoup de patients ont de la difficulté à comprendre ces sentiments et nombreux sont ceux qui en éprouvent de l'inconfort. L'anxiété peut varier en intensité d'un sentiment léger et vague que quelque chose ne vas pas à une sensation invalidante qui empêche la personne de fonctionner normalement.

Tout le monde traverse des périodes d'anxiété au cours de la vie. Commencer un nouvel emploi, entrer à l'université ou déménager dans une ville nouvelle sont des situations qui peuvent provoquer de l'anxiété. Recevoir un diagnostic de maladie dont vous n'avez peut-être encore jamais entendu parler peut aussi causer de l'anxiété.

Étant donné que le SMD est une maladie rare, moins d'information circule à son sujet. L'incertitude à propos du diagnostic de SMD, des traitements qui pourraient vous être proposés, de leur efficacité et de leurs effets secondaires potentiels peut contribuer à votre anxiété.

Parfois, l'anxiété provoque des troubles de concentration, de mémoire, des troubles de l'alimentation ou du sommeil. Bien des gens trouvent difficile de prendre des décisions ou de résoudre des problèmes et ils deviennent parfois irritables. Quand l'anxiété est grave, on observe aussi des maux de tête, de la diarrhée, de l'essoufflement ou des palpitations.

Ce que vous pouvez faire:

1. Explorez votre brochure *Les bases de l'espoir*. Elle suggère un certain nombre de ressources pour vous aider à comprendre votre diagnostic, vos options thérapeutiques et les stratégies que vous pouvez adopter pour prendre une part active dans ce périple.
2. Laissez-vous le temps de vous adapter au diagnostic.
3. Évaluez les autres sphères de votre vie où vous avez connu du succès et vous êtes senti solide. Utilisez les mêmes techniques pour vous aider à relever le défi auquel vous faites face, maintenant que vous vivez avec le SMD.
4. Essayez de vous simplifier la vie. Éliminez ou révisez les activités qui ne sont pas essentielles à votre bien-être physique et émotionnel.
5. Demandez de l'aide. Cette aide peut venir de votre famille, de vos amis ou de professionnels. L'aide thérapeutique d'un psychologue ou d'un travailleur social peut être utile également.
6. Envisagez de vous joindre à un groupe d'entraide, soit en personne ou soit sur Internet. D'autres patients atteints de SMD peuvent vous suggérer des trucs utiles sur la façon de mieux s'adapter à cette maladie. Il existe beaucoup de groupes d'entraide actifs dans le domaine du SMD. Vous pouvez communiquer avec la MDS Foundation pour plus de renseignements.
7. Explorez les ressources qui vous aideront à vous relaxer, par exemple la méditation, la massothérapie, le yoga ou l'écoute de musique douce.
8. Essayez de bien manger et de maintenir un certain degré d'activité.
9. Évitez la consommation excessive d'alcool ou de caféine.
10. Vous pourriez avoir de la difficulté à vous souvenir des instructions qui vous sont données ou à vous concentrer lorsqu'on vous donne des renseignements. Il est donc préférable de les écrire.
11. Demandez à votre équipe soignante de vous suggérer d'autres options pour contrôler votre anxiété. Vérifiez si un anxiolytique ne vous serait pas utile.

Définition: La dépression n'est pas rare chez les personnes qui reçoivent un diagnostic de cancer, y compris le SMD. La capacité de s'adapter au diagnostic de SMD est différente pour chaque personne. Si certaines personnes continuent de mener une vie bien remplie et gratifiante, d'autres éprouvent plus de difficultés à supporter le stress inévitable qui accompagne le SMD.

Plusieurs choses peuvent nuire à votre capacité de vous adonner aux activités que vous appréciez ou que vous devez accomplir chaque jour, notamment la baisse d'énergie (fatigue), les visites médicales fréquentes, le traitement, les faibles numérations sanguines et les finances. Ces défis sont réels et importants. Ils sont souvent à l'origine de la dépression situationnelle. Or, la dépression peut aussi être causée par une anomalie affectant certaines substances chimiques au cerveau et qui influent sur les émotions. Peu importe la cause, vous aurez peut-être l'impression que votre vie a moins de sens et que vous êtes un fardeau pour vos proches.

Ce que vous pouvez faire:

1. Apprenez à reconnaître les signes fréquents de la dépression: perdre l'intérêt ou ressentir moins de plaisir à faire certaines choses autrefois appréciées, se sentir démoralisé, déprimé ou désespéré, avoir de la difficulté à dormir, avoir moins d'appétit, pleurer plus souvent. Si vous présentez l'un ou l'autre de ces symptômes, vous souffrez peut-être d'une dépression clinique. Il serait utile également de demander à quelqu'un qui vous connaît bien s'il croit que vous êtes peut-être déprimé. La dépression grave fait en sorte que les gens perdent intérêt pour la vie et ont l'impression qu'elle ne vaut plus la peine d'être vécue.
2. Donnez-vous le temps de vous ajuster au diagnostic et aux changements qu'il impose à vos habitudes quotidiennes. Vous ne pourrez peut-être pas reprendre un style de vie aussi actif qu'autrefois, mais vous pouvez remplacer ces activités par des occupations moins fatigantes et tout aussi agréables.
3. Voyez quelles activités sont prioritaires et nécessaires pour maintenir une bonne santé physique et émotionnelle.
4. Essayez de trouver des activités que vous apprécierez, par exemple, écouter de la musique ou regarder une partie de baseball. Ces activités peuvent vous aider à garder un esprit positif.
5. Maintenez une alimentation et une routine d'exercice qui vous aideront à rester en santé. Reposez-vous suffisamment.
6. Évitez l'alcool car il peut aggraver la dépression.
7. Parlez à votre équipe soignante au sujet des ressources qui vous sont accessibles: infirmières, infirmières praticiennes en soins avancés, travailleurs sociaux ou psychologues qui peuvent vous aider à discuter de vos problèmes et à trouver les meilleures ressources pour vous aider.
8. La prière ou la méditation sont également très utiles pour trouver une certaine paix.
9. Envisagez de vous joindre à un groupe d'entraide en personne ou sur Internet. D'autres personnes qui vivent avec un SMD peuvent avoir de bonnes suggestions sur la façon de mieux s'adapter à la maladie.
10. Demandez à votre professionnel de la santé si vous ne devriez pas essayer un antidépresseur. Ces médicaments peuvent être utiles pour rétablir l'équilibre chimique au cerveau; ils prennent de quatre à six semaines à agir et il ne faut pas cesser subitement de les prendre.
11. Informez-vous auprès de votre professionnel de la santé sur les remèdes à base de plantes médicinales ou les remèdes naturels pour la dépression. Certains d'entre eux, comme le millepertuis, pourraient interférer avec votre médicament.

Quand dois-je appeler mon professionnel de la santé?

Il est très important de parler avec votre équipe soignante de vos symptômes lorsqu'une assistance médicale immédiate s'impose.

Demandez à quel moment vous devez appeler, avec qui vous devez communiquer lors des heures normales d'ouverture, avec qui vous pouvez communiquer après les heures normales d'ouverture et les symptômes qui nécessitent une assistance médicale d'urgence.

- Épisodes de fièvre de plus de 38 °C qui durent plus d'une heure ou une simple lecture de température > 38,3 °C
- Frissons solennels, peu importe la température
- Essoufflement ou douleur à la poitrine d'apparition subite (composez le 911)
- Anomalies cutanées, y compris:
 - ecchymoses inhabituelles
 - petites taches rouges sur la peau (pétéchies)
 - apparition ou aggravation d'un érythème cutané
- Maux de tête graves
- Changements de vision subits
- Changements affectant le fonctionnement des intestins ou de la vessie:
 - présence de sang ou coloration de rouge à rose des urines
 - diarrhée ou constipation incontrôlables
 - selles noires ou sanguinolentes
- Nausées ou vomissement incontrôlables

- Bisanz, A. et coll. (2010)** Summary of the causative and treatment factors of diarrhea and the use of a diarrhea assessment and treatment tool to improve patient outcomes. *Gastroenterology Nursing*, 33(4) 268-281. doi:10.1097/SGA.0b013e3181394307
- Bohnenkamp, S. et LeBaron, V. (2010)** Management of Constipation in Patients with Cancer. *Journal of the Advanced Practitioner in Oncology*, 1,3,211-217
- Hesketh, P.** Chemotherapy-Induced Nausea and Vomiting. *NEJM* 2008;358:2482-2494
- Kurtin, S. (2011)** Current Approaches to the Diagnosis and Management of Myelodysplastic Syndromes. *Journal of the Advanced Practitioner in Oncology*, Volume 2, Supplement 2
- Kurtin, S.E., et Demakos, E.P. (2010)** An update on the treatment of Myelodysplastic Syndromes [Accessible exclusivement en ligne]. *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 14, E24-E39. doi:10.1188/10
- Kurtin, S.E., Demakos, E., Hayden, J., et Boglione, C. (2012)** Treatment of Myelodysplastic Syndromes: Practical tools and effective management. *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 16(3, Suppl. 1), 23-35. doi:10.1188/12.CJON.S1.23-35
- Muehlbauer, P.M. et coll. (2009).** Putting evidence into practice: evidence-based interventions to prevent, manage, and treat chemotherapy- and radiotherapy-induced diarrhea. *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 13(3) 336-341. doi:10.1188/09.CJON.336-341
- NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology; Myelodysplastic Syndromes V1.2012*
- Rangwala, F., Zafar, S.Y., et Abernethy, A.P. (2012)** Gastrointestinal symptoms in cancer patients with advanced disease: new methodologies, insights, and a proposed approach. *Current Opinion in Supportive and Palliative Care*, 6(1):69-76. doi:10.1097/SPC.0b013e32834f689d
- Smith, L, Bertolotti, P., Curran K., Jenkins B.** Gastrointestinal Side-Effects Associated with Novel Therapies in Patients with Multiple Myeloma: Consensus statement of the IMF Nurse Leadership Board. *CJON* 2008;12(3):37-52
- Thomas, M.L., Crisp, N., Campbell, K.** The Importance of Quality of Life for Patients Living with Myelodysplastic Syndromes. *Clinical Journal of Oncology Nursing* 2012;16(0), 47-57

SURCHARGE FERRIQUE

La surcharge ferrique peut être un résultat de l'administration répétée de transfusions de culots globulaires. La surcharge ferrique est une situation potentiellement dangereuse, puisque le fer en quantité excessive peut endommager les tissus. Parmi les points abordés dans cette section, mentionnons: Pourquoi faut-il administrer des transfusions de culots globulaires dans les cas de SMD? Qu'est-ce que la surcharge ferrique et comment peut-on la surveiller et la traiter?

collaborateurs à la rédaction

Sandra Kurtin
Alan List
Jayshree Shah
David Steensma
Bob Weinberg

SURCHARGE FERRIQUE

| | |
|---|----|
| Transfusions sanguines et SMD | 3 |
| Qu'est-ce que la surcharge ferrique? | 5 |
| Quelle est la gravité de la surcharge ferrique? | 6 |
| Peut-on traiter la surcharge ferrique? | 6 |
| Agents chélateurs utilisés pour traiter la surcharge ferrique | 9 |
| Que puis-je faire pour éviter une surcharge ferrique? | 11 |
| Glossaire | 12 |
| Ressources | 13 |
| Références | 14 |
| Vivre avec une surcharge ferrique: Témoignage d'un patient | 15 |

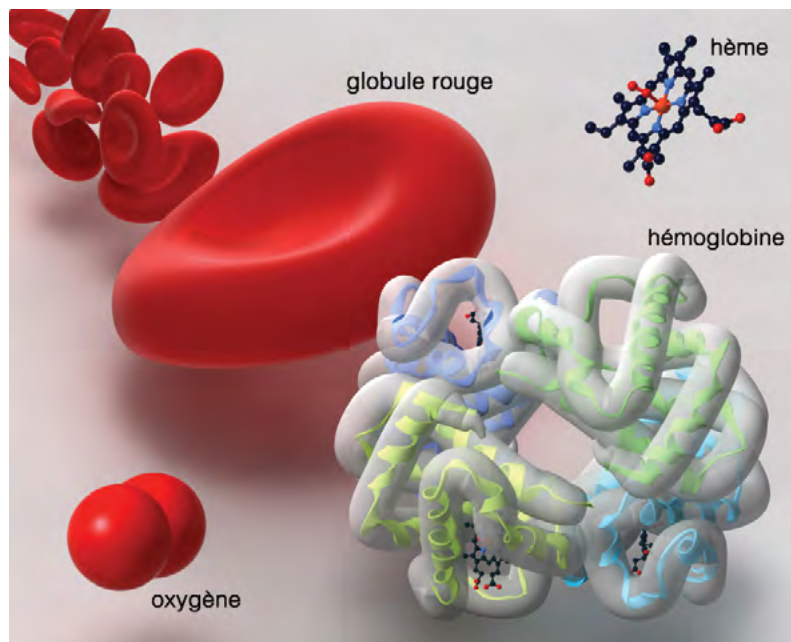
Pourquoi faut-il administrer des transfusions sanguines aux patients atteints de SMD?

Les syndromes myélodysplasiques forment un groupe d'insuffisances médullaires caractérisées par une quantité déficiente de globules rouges, de globules blancs et de plaquettes à maturité fabriquées par la moelle osseuse. Environ 80 % des patients atteints de SMD souffrent d'anémie (faible numération des globules rouges entraînant un faible taux d'hémoglobine) lorsqu'ils reçoivent leur diagnostic de SMD. Les transfusions de culots globulaires servent souvent à traiter les symptômes d'anémie. Même si l'anémie chronique est rarement fatale, elle peut nuire à la qualité de vie d'un patient.

Les globules rouges renferment l'hémoglobine, une volumineuse protéine qui contient du fer et donne au sang sa couleur rouge. Les globules rouges transportent l'oxygène à partir des poumons vers tous les tissus de l'organisme. Toutes les cellules de l'organisme ont besoin d'oxygène pour croître, se multiplier et s'acquitter de leurs tâches spécifiques. Lorsque le nombre de globules rouges diminue sous un certain seuil, la quantité d'oxygène diminue également, de sorte que les cellules et les tissus ne reçoivent pas suffisamment d'oxygène. Sans oxygène pour leur procurer l'énergie dont elles ont besoin pour accomplir leurs fonctions spécifiques, les cellules deviennent moins efficaces et elles se fatiguent.

L'anémie peut affecter chaque personne différemment, selon son âge et son état de santé général. Parmi les symptômes que vous pourriez remarquer en lien avec l'anémie: pâleur, fatigue, faiblesse et parfois, essoufflement.

Les transfusions sanguines sont un moyen courant de soulager temporairement les symptômes de l'anémie. Ainsi, les transfusions font partie des soins de soutien, axés sur les symptômes. Cependant, les globules rouges transportent du fer et après l'administration de transfusions répétées, un patient peut éventuellement présenter des taux élevés de fer dans son sang et ses autres tissus. Votre professionnel de la santé abordera avec vous les autres effets secondaires possibles des transfusions sanguines. La plupart du temps, on administre deux unités de culots globulaires à chaque séance de transfusion.



Directives générales pour les transfusions de culots globulaires

- Requièrent un consentement éclairé
- En l'absence de symptômes: transfusion pour maintenir une Hb à 7–9 g/dL
- En présence de symptômes et de saignements: transfusion pour maintenir la stabilité hémodynamique
- En présence de symptômes avec Hb < 10 g/dL: transfusion pour maintenir Hb à 8–10 g/dL
- Syndrome coronarien aigu avec anémie: transfusion pour maintenir Hb > 10 g/dL

AVANTAGES

- Augmentation rapide de l'hémoglobine (Hb), peut atténuer la fatigue chez certains patients

RISQUES

- Transmission virale: VIH: 3,1/100 000; hépatite C: 5,1/100 000; hépatite B 3,41–3,43/100 000
- Syndrome de détresse respiratoire post-transfusionnelle: 0,81/100 000
- Surcharge circulatoire post-transfusionnelle: ↑ 1–6 % dans les unités de soins intensifs et en postopératoire
- Hémolyse fatale: 1,3–1,7/million d'unités transfusées
- Réactions non hémolytiques fébriles: 1,1–2,15 %
- Surcharge ferrique post-transfusionnelle (hémosidérose)

La fréquence des transfusions à administrer varie selon la gravité des symptômes et selon l'hématocrite ou le taux d'hémoglobine. La fréquence des transfusions peut varier d'une fois tous les quelques mois dans les SMD de risque inférieur à une fois toutes les deux à six semaines dans la maladie assortie d'un risque supérieur. Chez certains patients atteints de SMD, l'intervalle entre les transfusions sera aussi bref qu'une à deux semaines. Si les patients ont besoin de séries de transfusions de culots globulaires, on parle de dépendance transfusionnelle. La dépendance transfusionnelle est un critère fréquent pour envisager un traitement modifiant la maladie (traitement visant à corriger les anomalies de la moelle osseuse) pour améliorer la fabrication des cellules sanguines normales, y compris des globules rouges et pour limiter l'exposition constante à une quantité excessive de fer (surcharge ferrique) (voir: *Principes généraux du traitement du SMD*).

Transfusions et surcharge ferrique



Les transfusions de culots globulaires peuvent soulager temporairement les symptômes de l'anémie, mais ils fournissent un excédent de fer à l'organisme. Même s'il existe quelques traitements pour rétablir la production de globules rouges afin que les patients atteints de SMD deviennent indépendants des transfusions, ces traitements ne conviennent pas à tous les patients. Pour de nombreux patients atteints de SMD, les transfusions sont la seule option pour traiter les symptômes d'anémie. Un traitement de soutien par transfusions répétées de culots globulaires peut entraîner une élévation des taux de fer dans le sang et les autres tissus. Ainsi, les patients atteints de SMD qui reçoivent des transfusions pour leur anémie sont exposés à un risque de surcharge ferrique (présence de fer en quantité excessive dans l'organisme).

Votre corps renferme de 3 à 4 grammes de l'élément fer (Fe). Près des deux tiers du fer de l'organisme se concentrent dans la protéine sanguine qui transporte l'oxygène, l'hémoglobine. Le reste est présent dans la myoglobine (que l'on trouve dans les cellules musculaires) et d'autres protéines. La quantité de fer dans l'organisme est étroitement contrôlée et elle est en majeure partie recyclée. Les très petites quantités qui sont éliminées quotidiennement (de 1 à 2 mg) sont compensées par l'absorption du fer présent dans les aliments.

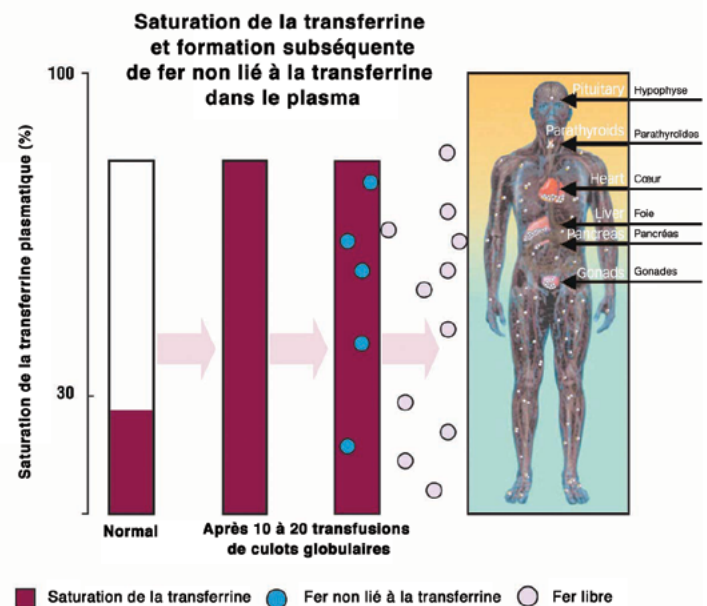
Transfusion de culot globulaire et surcharge ferrique

Chaque unité de culot globulaire renferme environ 250 mg de fer. Lorsqu'au cours d'un traitement, plusieurs transfusions sont administrées, le fer s'accumule dans les tissus et les organes du corps. Après environ 20 transfusions, un patient recevra un surplus de 5 grammes de fer, ce qui multiplie par deux environ la quantité de fer dans son organisme.

Normalement, le fer se lie à une protéine du plasma appelée transferrine qui circule dans l'organisme et s'accumule dans les cellules sous forme de ferritine. La surcharge ferrique survient lorsque la transferrine devient saturée, ce qui accroît la concentration de fer non lié à la transferrine, une substance toxique pour les cellules. À mesure que le fer non lié à la transferrine s'accumule dans le sang, il est absorbé par les tissus avoisinants, ce qui entraîne une augmentation des taux de fer non lié dans le foie, le cœur, le pancréas, l'hypophyse et d'autres glandes.

Comment savoir si j'ai une surcharge ferrique?

La surcharge ferrique n'apparaît pas au même moment pour tout le monde. En règle générale, elle s'observe après l'administration de 20 unités de culots globulaires. Toutefois, la surcharge ferrique peut survenir après aussi peu que 10 unités de sang transfusé chez certains patients et peut aussi bien ne pas s'observer chez certains patients qui ont reçu plus de 60 unités de sang. En plus de présenter une surcharge ferrique par suite des transfusions répétées, les patients atteints de SMD qui souffrent d'anémie sidéroblastique peuvent développer une surcharge ferrique par suite d'une absorption excessive de fer d'origine alimentaire ou sous forme de suppléments. Vous ignorez peut-être que le fer s'accumule dans votre organisme, parce qu'il n'y a parfois aucun symptôme. Les autres patients atteints de SMD que l'on considère à risque à l'égard d'une surcharge ferrique sont les candidats à une greffe qui ont déjà reçu plus de 20 à 30 transfusions de culots globulaires, ceux dont les taux de ferritine sérique sont supérieurs à 1 000 – 2 500 ng/mL et ceux qui présentent un score de risque IPSS de faible à intermédiaire-1 et qui ont continuellement besoin de transfusions.



Référence:

Shah, et coll. (2012) Management of Transfusion-Related Iron Overload in Patients with Myelodysplastic Syndromes. *Clin J Oncol Nurs*, 16 (suppl 1), 37-46.

Quelle est la gravité de la surcharge ferrique? Peut-on traiter la surcharge ferrique?

La surcharge ferrique est un problème potentiellement dangereux parce que le fer excédentaire peut endommager les tissus. Le fer excédentaire peut s'accumuler dans le cœur, le foie, les poumons, le cerveau, la moelle osseuse et les glandes endocrines, ce qui vous expose à un risque à l'égard de plusieurs problèmes de santé. Bon nombre de ces problèmes sont irréversibles et peuvent menacer le pronostic vital. Il s'agit entre autres de l'insuffisance cardiaque, de la cirrhose et de la fibrose du foie, des troubles de la vésicule biliaire, du diabète, de l'arthrite, de la dépression, de l'impuissance, de l'infertilité et du cancer. Les données sur les atteintes causées par la surcharge ferrique proviennent d'études sur d'autres maladies du sang, telles que l'anémie falciforme et la thalassémie, qui sont aussi associées à une anémie dépendante des transfusions.

Des études effectuées chez des patients atteints de SMD ont montré que la surcharge ferrique consécutive à des transfusions régulières de culots globulaires est associée à une survie globale moindre et à un risque plus élevé à l'égard de la leucémie. Cet effet négatif sur la survie dépend du nombre de transfusions de culots globulaires reçus chaque mois. L'effet négatif sur la survie est aussi en lien avec la gravité du SMD (voir: *Quelle est la gravité de mon SMD?*). Le traitement de la surcharge ferrique et de sa toxicité au moyen des chélateurs du fer chez les patients atteints de SMD et d'une anémie dépendante des transfusions réduirait le fardeau du fer et améliorerait la survie chez certains patients atteints de SMD.

Comment diagnostique-t-on la surcharge ferrique?

Même s'il existe plusieurs tests pour évaluer la surcharge ferrique, celui qui est le plus souvent utilisé de nos jours est une simple analyse sanguine appelée test de ferritine. Le taux de ferritine permet d'estimer de manière indirecte la surcharge ferrique. La ferritine est une protéine du sérum qui se lie au fer et aide à son stockage dans l'organisme. Étant donné que ce test est une simple analyse sanguine, il est facile de l'effectuer à répétition pour suivre l'évolution des taux de ferritine dans le temps et dégager/surveiller une tendance, le cas échéant. On vérifie généralement les taux de ferritine sérique chez les patients atteints de SMD au moment du diagnostic, puis tous les trois à quatre mois lorsque des transfusions régulières sont requises (SMD dépendant des transfusions). Le fait de prendre note de vos taux de ferritine sérique, de vos transfusions et de vos taux d'hémoglobine pourrait vous aider à comprendre votre risque à l'égard de la surcharge ferrique (voir: *Mon plan SMD*).

Chez les patients atteints de SMD, les taux de ferritine sérique se sont révélés en lien avec le nombre d'unités de culots globulaires administrés. Un taux de ferritine sérique de 10 µg/L peut être atteint après aussi peu que 20 unités de culots globulaires. L'un des désavantages du test de ferritine est que les résultats subissent l'influence de l'inflammation, de l'infection et d'une carence en acide ascorbique (vitamine C). Par conséquent, les tendances des taux de ferritine sur une période de temps sont le plus utiles pour surveiller la surcharge ferrique.

Taux de ferritine

| Taux normaux de ferritine sérique | Taux faibles de ferritine sérique | Taux élevés de ferritine sérique | Surcharge ferrique |
|-----------------------------------|--|--|---|
| 10 – 250 µg/L | Un taux faible de ferritine sérique signifie généralement une baisse des réserves de fer. Des taux inférieurs à la normale de ferritine sont un signe d'anémie par carence en fer. | Pourrait indiquer la présence d'une anémie hémolytique, d'une anémie mégalo-blastique ou d'une surcharge ferrique. | Les taux de ferritine sérique sont supérieurs à 1 000 – 2 500 ng/mL et indiquent une surcharge ferrique chez les patients souffrant d'une anémie dépendante des transfusions. |

Quelle est la gravité de la surcharge ferrique? Peut-on traiter la surcharge ferrique?

Peut-on traiter la surcharge ferrique?

Heureusement, la surcharge ferrique peut être traitée au moyen de médicaments appelés chélateurs du fer. L'objectif du traitement est de maintenir le taux de fer dans l'organisme suffisamment bas pour prévenir une atteinte des organes. Même après l'apparition d'une toxicité affectant les organes, le traitement chélateur peut corriger certaines des complications de la surcharge ferrique. Ces chélateurs, qui se lient au fer pour qu'il puisse être éliminé de l'organisme, sont la façon la plus courante de traiter la surcharge ferrique chez les patients qui souffrent de SMD dépendant des transfusions. Ultiment, la dépendance aux transfusions est le signe qu'il faut envisager des traitements modifiant la maladie pour améliorer le fonctionnement de la moelle osseuse et éviter d'autres transfusions de culots globulaires (voir: *Principes généraux du traitement pour le SMD*).

Phlébotomie

Certains patients atteints de SMD qui n'ont plus besoin de transfusions de culots globulaires par suite du traitement de leur SMD peuvent être des candidats à la phlébotomie. La phlébotomie consiste à éliminer une unité de sang (comme faire un don de sang), ce qui, comme les agents chélateurs du fer, élimine le fer transporté par les globules rouges, de même que le fer non lié dans la circulation. De nombreux patients atteints de SMD n'ont cependant pas des taux d'hémoglobine suffisants pour qu'on utilise cette approche d'élimination du fer excédentaire.

Test pour la surcharge ferrique

| TEST | AVANTAGES | INCONVÉNIENTS |
|---|---|---|
| Test de ferritine <i>(Méthode la plus courante)</i> | <ul style="list-style-type: none"> • Non invasif • Largement accessible • Utile pour décider à quel moment instaurer un traitement • Utile pour surveiller l'efficacité du traitement | <ul style="list-style-type: none"> • Les valeurs obtenues subissent l'influence de l'inflammation, de l'infection et de la carence en acide ascorbique (vitamine C) • Plus ou moins en corrélation avec le taux de fer total dans l'organisme |
| Biopsie hépatique taux de fer dans le foie <i>(Utilisation limitée en raison du risque)</i> | <ul style="list-style-type: none"> • En bonne corrélation avec le taux de fer total dans l'organisme • Permet l'évaluation de l'histologie hépatique • Des taux élevés prédisent un risque de maladie cardiaque, de complications endocriniennes et de mortalité | <ul style="list-style-type: none"> • Invasive • Degré de précision selon la taille de l'échantillon • Erreur d'échantillonnage dû à la fibrose et à la distribution inégale du fer • La maladie cardiaque peut être présente, même si le taux de fer hépatique est faible |
| IRM Imagerie par résonance magnétique <i>(Utilisée pour évaluer les enzymes hépatiques anormales chez les patients qui ont un taux élevé de ferritine)</i> | <ul style="list-style-type: none"> • Non invasive • Plus largement accessible • En bonne corrélation avec le taux de fer hépatique obtenu par biopsie | <ul style="list-style-type: none"> • Coûteuse • La diversité des techniques et programmes d'analyses peuvent limiter la comparabilité • La maladie cardiaque peut être présente, même si le taux de fer hépatique est faible |
| Concentration cardiaque de fer par IRM <i>(Utilisée principalement pour évaluer les symptômes cardiaques chez les patients présentant un taux élevé de ferritine)</i> | <ul style="list-style-type: none"> • Non invasive • En corrélation avec le risque de maladie cardiaque | <ul style="list-style-type: none"> • Coûteuse • Difficile à valider sans spécimen de biopsie |

Quelle est la gravité de la surcharge ferrique? Peut-on traiter la surcharge ferrique?

Agents chélateurs

À l'heure actuelle, il existe trois agents chélateurs du fer pour les patients atteints de SMD: Desferal® (nom générique: déféroxamine), Exjade® (nom générique: déférasirox) et Ferriprox®* (nom générique: déféripone).

| Nom | Déféroxamine (Desferal®) | Déférasirox (Exjade®) | Déféripone (Ferriprox®) |
|-----------------------------|--|--------------------------|-------------------------|
| Voie d'administration | Sous-cutanée, intramusculaire ou intraveineuse | Orale | Orale |
| Dose | 25–50 mg/kg | Dose de départ: 20 mg/kg | 75 mg/kg |
| Posologie | Administrée en 8 à 24 heures, une fois par jour, 3–7 jours par semaine | Quotidienne | Trois fois par jour |
| Principale voie d'excrétion | Urine/selles | Selles | Urine |

Quelle sera la durée de mon traitement chélateur?

Le traitement chélateur est maintenu jusqu'à ce que votre taux de ferritine sérique soit inférieur à 1 000 ng/mL. Cela peut prendre de quelques mois à quelques années. Chez les patients qui demeurent dépendants des transfusions, le traitement chélateur peut continuer indéfiniment. Une fois le traitement chélateur amorcé, vos taux de fer seront vérifiés tous les trois à quatre mois. On utilise le test de ferritine pour mesurer la réponse au traitement chélateur. Si vous êtes en traitement, votre professionnel de la santé vérifiera le nombre de transfusions de culots globulaires que vous recevez, de même que votre taux de ferritine sérique. Si vous ne recevez plus de transfusions ou si votre taux de ferritine sérique diminue à moins de 500 ng/mL pendant le traitement chélateur, ce dernier pourrait être cessé. Toutefois, on continuera de surveiller votre taux de fer.

Quels sont les effets secondaires des agents chélateurs?

Certains patients manifestent des effets secondaires lors de leur traitement par chélateur du fer. On peut prévenir ou gérer efficacement la plupart des effets secondaires grâce à l'étroite collaboration de votre équipe soignante. Dans certains cas, un ajustement de la dose ou une suspension du médicament permettent d'atténuer les effets secondaires. Ces changements posologiques ne peuvent cependant être faits qu'après discussion avec votre professionnel de la santé.

Agents chélateurs du fer: Effets secondaires courants

| Desferal® (déféroxamine) | Exjade® (déférasirox) | Ferriprox® (déféripone) |
|---|---|---|
| Réactions locales au point de perfusion | Troubles gastro-intestinaux | Neutropénie (taux très bas de neutrophiles) et agranulocytose (taux très bas de granulocytes) |
| Toxicité neurologique | Augmentation des taux d'enzymes hépatiques | Anomalies gastro-intestinales |
| Trouble de la croissance et de l'ossature | Augmentation des taux de créatinine sérique | Douleurs musculosquelettiques et articulaires |
| Réactions allergiques | | Augmentation des taux d'enzymes hépatiques |

Le cas échéant, discutez de tout symptôme que vous pourriez manifester après le début du traitement chélateur avec votre équipe soignante. Demandez à quel moment vous devez communiquer avec l'équipe, de quelle façon, quel numéro de téléphone composer et à qui vous devez parler si vous éprouvez des symptômes. Renseignez-vous sur les symptômes qui doivent être signalés immédiatement pour une prise en charge rapide.

*non accessible au Canada

Référence:

Steensma, D. The role of iron chelation therapy for patients with Myelodysplastic Syndromes. *J Natl Compr Canc Netw*. 2011; 9:65–75

Agents chélateurs utilisés pour traiter la surcharge ferrique

Desferal® (déféroxamine)

Desferal® est administré par injection, de trois à sept fois par semaine. Certains patients reçoivent des injections sous-cutanées (sous la peau) deux fois par jour. D'autres reçoivent des perfusions intraveineuses lentes au moyen d'une pompe portable à piles portée pendant une période d'environ huit heures, souvent la nuit. Desferal® peut aussi être administré par injection intramusculaire (dans un muscle). La voie d'administration la plus efficace est différente pour chaque patient. Il est possible d'administrer des injections moins fréquentes (une à deux fois par semaine) lorsque le taux de ferritine diminue. En général, le médecin commencera le traitement à 1 gramme et ajustera graduellement la dose à la hausse, sans toutefois dépasser 3 grammes par jour. Desferal® agit lentement et élimine seulement 6 à 10 mg de fer par perfusion. Toutefois, il peut maintenir un équilibre ferrique négatif, même lorsque les transfusions sanguines continuent.

Les effets secondaires les plus souvent signalés avec Desferal® sont notamment: éruptions cutanées, urticaire, démangeaisons, douleur ou enflure au point de perfusion, vomissements, diarrhée, crampes à l'abdomen ou aux jambes, présence de sang dans l'urine, vision trouble, fièvre, accélération du pouls et étourdissements. Les réactions indésirables potentielles à long terme sont une atteinte rénale ou hépatique, la perte de l'ouïe ou des cataractes.



Exjade® (déférasirox)

Exjade® est un traitement oral pour la surcharge ferrique, administré une fois par jour à raison de 20 mg par kilogramme de poids corporel (20 mg/kg/jour). On prend Exjade® dissout dans un liquide une fois par jour à jeun, au moins 30 minutes avant la prise d'aliments, préférablement à la même heure tous les jours. Des essais cliniques sur des patients atteints de bêta-thalassémie, d'anémie falciforme et d'autres formes d'anémies dépendantes des transfusions, incluant le SMD, ont montré qu'Exjade® réduit significativement la concentration hépatique en fer, un indicateur de la teneur en fer de l'organisme et a permis le maintien ou la réduction du fardeau ferrique chez les patients transfusés. Étant donné qu'Exjade® peut provoquer certaines réactions indésirables qui affectent le fonctionnement des reins ou du foie, son utilisation se fait sous étroite surveillance au moyen de tests sanguins tous les mois ou plus souvent chez les patients exposés à un risque accru à l'égard de ces complications. Vous ne devez pas prendre Exjade® si vous présentez une insuffisance rénale ou hépatique ou si vous êtes hypersensible au déférasirox ou à l'un ou l'autre des composants d'Exjade®. On utilise Exjade® avec prudence chez les patients qui ont une faible numération de plaquettes ou de globules blancs.

Les effets secondaires les plus souvent associés à Exjade® incluent: diarrhée, nausées, vomissements, maux de tête, douleurs abdominales, fièvre, toux et augmentation légère et stable de la créatinine sérique. Les réactions indésirables potentielles à long terme associées à Exjade® sont notamment: atteinte rénale ou hépatique, perte de l'ouïe ou cataractes. Respectez tous vos rendez-vous prévus avec votre médecin et au laboratoire. Votre médecin demandera certains tests de laboratoire pour surveiller les effets de votre traitement chélateur. Gardez ce médicament dans son contenant original, hermétiquement fermé et hors de la portée des enfants. Gardez-le à la température ambiante et à l'abri de toute chaleur ou humidité excessive (c.-à-d. à l'extérieur de la salle de bain). Jetez toute portion du médicament qui est périmée ou qui n'est plus requise.



Vivre avec une surcharge ferrique



Comment prendre Exjade®

1. Mettre les comprimés Exjade® dans un verre de jus d'orange, de jus de pomme ou d'eau.
2. Laisser dissoudre entièrement. Vous pouvez remuer ou agiter le mélange jusqu'à dissolution et jusqu'à ce que la solution soit homogène.
3. La solution peut être consistante et cela prendra quelques minutes.
4. Buvez la solution comme s'il s'agissait d'un verre d'eau ou de jus normal. Il est important de finir toute portion restante d'Exjade® au fond du verre en ajoutant un peu plus de liquide et en remuant.
5. Exjade® ne doit être ni mâché ni avalé entier et il ne faut pas le prendre en même temps que des antiacides renfermant de l'aluminium comme Maalox®.

Ferriprox® (défériprone)

L'utilisation de Ferriprox® n'est pas autorisée chez les patients atteints de SMD, mais le fabricant souhaite le faire approuver pour la surcharge ferrique associée aux SMD dans plusieurs pays. Ferriprox® est actuellement utilisé pour le traitement de la surcharge ferrique chez les patients atteints de thalassémie qui ne peuvent pas utiliser Desferal® en raison d'une intolérance ou d'un manque d'efficacité. On le prend par la bouche, sous forme de comprimés ou de solution orale. La dose habituelle est de 25 mg/kg, trois fois par jour, pour une dose quotidienne totale de 75 mg/kg/jour. Lors des études cliniques et dans la pratique, Ferriprox® s'est révélé efficace à éliminer le fer de l'organisme. Ferriprox® présente un profil d'innocuité semblable à celui de Desferal®. Des essais cliniques en cours étudient l'utilisation de Ferriprox® seul et en association avec Desferal® chez les patients souffrant d'une surcharge ferrique post-transfusionnelle. Un traitement chélateur d'association permettrait d'utiliser Desferase® en perfusions moins fréquentes et faciliterait l'observance thérapeutique (la prise des deux traitements comme prescrits, aux doses recommandées et au moment voulu à chaque fois). Les effets secondaires les plus fréquents associés à Ferriprox® incluent les nausées, les vomissements, les brûlures d'estomac, les douleurs abdominales, la diarrhée, l'augmentation ou la baisse de l'appétit, le gain pondéral, la douleur dans les bras et les jambes, au dos et dans les articulations. La défériprone peut faire diminuer le nombre de globules blancs fabriqués par votre moelle osseuse. Les globules blancs aident l'organisme à lutter contre l'infection. Donc, si votre numération de globules blancs est basse, vous êtes exposé à un risque plus grand à l'égard d'infections graves ou gravissimes.

Respectez tous vos rendez-vous prévus avec votre médecin et au laboratoire. Votre médecin demandera certaines analyses de laboratoire ou des radiographies pour surveiller les bienfaits de votre traitement chélateur. Gardez ce médicament dans son contenant original, hermétiquement fermé et hors de la portée des enfants. Gardez-le à la température ambiante et à l'abri de toute chaleur ou humidité excessive (c.-à-d. à l'extérieur de la salle de bain).

Que puis-je faire pour éviter une surcharge ferrique?

Que puis-je faire concrètement pour aider à réduire la surcharge ferrique?

Faire un suivi du nombre de transfusions que vous avez reçues et de certains résultats d'analyses de laboratoire, comme vos taux d'hémoglobine et de ferritine, peut vous aider de diverses façons. Vous pourrez vérifier le taux d'hémoglobine à partir duquel vous avez des symptômes et la fréquence de vos transfusions. En sachant le nombre de transfusions que vous avez reçues, vous pourrez discuter en meilleure connaissance de cause avec votre médecin, votre infirmière et vos autres professionnels de la santé de votre risque de surcharge ferrique et de la meilleure façon de traiter vos symptômes. L'outil de suivi des traitements et des transfusions (voir: *Mon plan SMD*) est utile pour faire le suivi de vos résultats d'analyses de laboratoire, de vos transfusions et autres traitements pour votre SMD, de même que de vos symptômes. Que vous receviez ou non un traitement pour la surcharge ferrique, vous devriez prendre note de toutes vos transfusions, de votre type sanguin et des anticorps présents dans votre sang. Si vous recevez un traitement chélateur, prenez note de vos transfusions, de vos taux de ferritine et des résultats de vos tests de dépistage de la surcharge ferrique ou des doses de chélateur reçues (voir: *Mon plan SMD*). Respectez tous vos rendez-vous prévus avec votre médecin et au laboratoire. Votre médecin demandera certaines analyses de laboratoire ou des radiographies pour surveiller les bienfaits de votre traitement chélateur.

| Test | Fréquence |
|------------------------------|---|
| Test auditif | Au départ, puis tous les ans pour vérifier l'évolution des symptômes |
| Granulocytes | Tous les mois |
| Ferritine sérique | Au départ, puis tous les trois à quatre mois |
| Transaminases sériques | Tous les mois |
| Créatinine sérique | Tous les mois |
| Réserves hépatiques de fer | Peut être demandé en fonction des taux de ferritine sérique et autres signes cliniques (augmentation des taux d'enzymes hépatiques) |
| Réserves myocardiques de fer | Peut être demandé en fonction des taux de ferritine sérique et de tout signe de problème cardiaque |
| Examen de la vue | Au départ, puis une fois l'an ou lors d'une évolution des symptômes |

Éviter la surcharge ferrique: alimentation et médicaments

En plus du traitement chélateur du fer pour la surcharge ferrique post-transfusionnelle, vous pouvez suivre certaines recommandations quotidiennes pour réduire votre apport alimentaire en fer:

Pour réduire l'apport en fer:

- Consommez des produits laitiers, des œufs et certains aliments à forte teneur en fibres et du thé qui renferme des polyphénols.

Pour aider à prévenir davantage l'augmentation des taux de fer:

- Évitez l'alcool et la fumée du tabac.
- Évitez les suppléments de fer ou les médicaments qui renferment du fer (vitamines additionnées de fer).
- Évitez la consommation excessive de sucre.
- Limitez votre consommation d'aliments à très forte teneur en fer: le bœuf, l'agneau et le gibier renferment les quantités les plus élevées de fer comparativement au porc et au poulet qui en renferment moins.
- Certains poissons renfermeraient beaucoup de fer.

Pour réduire les infections:

- Vous devez aussi éviter les fruits de mer crus, particulièrement les huîtres, parce qu'elles transportent des bactéries qui croissent en présence de plasma renfermant des taux élevés de fer et, par conséquent, peuvent aggraver votre sensibilité aux infections bactériennes graves.

Référence:

Kurtin, S. (2011) Current Approaches to the Diagnosis and Management of Myelodysplastic Syndromes. *J Adv Pract Oncol* 2(suppl): 7-18

anémie

problème de santé qui résulte d'un nombre insuffisant de globules rouges; peut engendrer divers symptômes; est détectée par une mesure de la numération des globules rouges et du taux d'hémoglobine dans le sang.

anémie sidéroblastique

anémie caractérisée par la présence de globules rouges non à maturité dans la moelle osseuse (érythroblastes), qui ne fabriquent pas suffisamment d'hémoglobine et se chargent de fer (appelés sidéroblastes en couronne).

anticorps

protéine fabriquée par certaines cellules du système immunitaire en réponse à la présence de substances étrangères (ou « non-soi ») appelées antigènes. Chaque type d'anticorps est unique, répond à un antigène spécifique et signale à d'autres cellules du système immunitaire de débarrasser l'organisme de la substance, du microorganisme ou de la cellule jugés aberrants et étrangers. Aussi appelé immunoglobuline.

cirrhose

cicatrisation du foie qui résulte d'une lésion ou d'une inflammation; aussi appelée fibrose hépatique.

créatinine sérique

analyse sanguine utilisée pour évaluer la fonction rénale. En cas d'insuffisance rénale, les taux de créatinine vont augmenter dans le sang parce que moins de créatinine est libérée dans l'urine.

ferritine

protéine du plasma qui se lie au fer et aide au stockage du fer dans l'organisme.

fibrose

formation de tissu cicatriciel qui résulte d'une lésion ou d'une inflammation.

globule blanc

type de cellule sanguine dont il existe cinq sous-types, notamment les neutrophiles et les granulocytes. Les globules blancs, aussi appelés leucocytes, jouent un rôle central dans l'immunité.

globule rouge

type de cellule sanguine qui renferme la protéine hémoglobine chargée de transporter l'oxygène vers les tissus de l'organisme; aussi appelé érythrocyte ou hématie.

granulocyte

type de globule blanc qui aide l'organisme à lutter contre l'infection.

hématocrite

fraction du sang composée des globules rouges.

hémoglobine

protéine sanguine renfermant du fer qui transporte l'oxygène vers les tissus de l'organisme.

moelle osseuse

tissu spongieux au centre des os, où sont fabriquées les cellules sanguines et les plaquettes.

neutrophile

type de globule blanc qui joue un rôle clé dans la protection de l'organisme contre l'infection. La numération absolue des neutrophiles, ou NAN, est une analyse sanguine courante pour mesurer le nombre de neutrophiles.

numération absolue des neutrophiles

nombre de neutrophiles sanguins, un type de globules blancs; abréviation NAN. Une NAN faible indique un risque accru d'infection grave.

plaquette

fragment cellulaire que l'on retrouve dans le sang et qui participe à la coagulation sanguine.

plasma

portion liquide du sang qui renferme les électrolytes (sels), les hormones et les protéines.

sérum

portion liquide du sang qui renferme les sels (électrolytes), les hormones et les protéines, mais non la protéine de la coagulation fibrinogène; identique au plasma en termes de composition, mais sans le fibrinogène.

thalassémie

maladie sanguine causée par une production anormale de l'hémoglobine qui entraîne de l'anémie.

transaminases sériques

analyse sanguine utilisée pour évaluer la fonction hépatique. Des taux élevés d'enzymes appelées transaminases s'observent dans le foie et sont libérées dans la circulation sanguine, lorsque le foie est endommagé.

transferrine

protéine du plasma qui se lie au fer et qui le fait circuler dans tout l'organisme.

type sanguin

les quatre principaux types sanguins sont établis en fonction de la présence de deux protéines à la surface des globules rouges d'une personne: l'antigène A et l'antigène B. Les quatre principaux types sanguins sont A, B, AB et O. Le type sanguin A indique que l'antigène A est présent sur les globules rouges et le type sanguin B indique que l'antigène B est présent sur les globules rouges. Le type AB indique la présence des antigènes A et B sur les globules rouges et le type O indique que ni l'antigène A, ni l'antigène B ne sont présents sur les globules rouges.

Fondations ou organismes voués spécifiquement aux SMD

Myelodysplastic Syndromes Foundation www.mds-foundation.org

The MDS Beacon www.mdsbeacon.com

Fondations ou organismes voués spécifiquement à la surcharge ferrique

Iron Disorders Institute www.irondisorders.org

Iron Overload Diseases Association, Inc. www.ironoverload.org

Autres fondations ou organismes

Aplastic Anemia & MDS International Foundation www.aamds.org

American Cancer Society www.cancer.org

American Society of Hematology www.hematology.org

Caring Bridge www.caringbridge.org

National Anemia Action Council www.anemia.org

National Heart, Lung and Blood Institute www.nhlbi.nih.gov

The Leukemia & Lymphoma Society www.lls.org

Ressources spécifiques au sujet des médicaments

Desferal® (déféroxamine) www.desferal.com

Exjade® (déférasirox) www.exjade.com

Ferriprox® (défériprone) www.ferriprox.com

Renseignements généraux

Medline Plus www.nlm.nih.gov/medlineplus/medlineplus.html

The Merck Manual Home Edition for Patients and Caregivers www.merckmanuals.com/home/index.html

Lectures additionnelles suggérées, tirées de la littérature médicale

Bennett, J.M. (réd) *The Myelodysplastic Syndromes: Pathobiology and Clinical Management* New York: Marcel Dekker, Inc. 2002

Fausel, C.A. Iron chelation therapy in Myelodysplastic Syndromes. *Am J Health-Syst Pharm.* 2010;67(suppl 2): S10-15

Giagounidis, A., Leto di Priolo, S., Ille, S., et Fenaux, P. A European survey on the detection and management of iron overload in transfusion-dependent patients with MDS. *Ann Hematol.* 2011;90:667-673

Kwiatkowski, J.L. Oral iron chelators. *Hematol Oncol Clin N Amer.* 2010;24:229-248

Malcovatti, L. Red blood cell transfusion therapy and iron chelation in patients with Myelodysplastic Syndromes. *Clin Lymphoma Myeloma.* 2009;9:S305-S311

National Comprehensive Cancer Network. *NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology. Myelodysplastic Syndromes. Version 2. 2012* Accessible en ligne à l'adresse www.nccn.org/professionals/physician_gls/f_guidelines.asp

Shander, A., et Sweeney, J.D. Overview of current treatment regimens in iron chelation therapy. *US Hematol.* 2009;2:59-62

Steenma, D. The role of iron chelation therapy for patients with Myelodysplastic Syndromes. *J Natl Compr Canc Netw.* 2011;9:65-75

Aide financière

Exjade® Patient Assistance and Support Services (EPASS™)

Soins complets pour les patients résidant aux États-Unis.

www.us.exjade.com/patient/epass-advantage.jsp

888 903-7277

Novartis Alliance

<http://www.novartisoncology.com/health-care-professionals/novartis-oncology-alliances.jsp>

Diplomat Specialty Pharmacy Co-Pay Assistance Navigator Program

<http://diplomatpharmacy.com/en/financial-assistance>

877 977-9118 ext.10184

Comment communiquer avec la Myelodysplastic Syndromes Foundation

The MDS Foundation, Inc.

4573 South Broad Street, Suite 150

Yardville, NJ 08620

800 MDS-0839 (aux États-Unis seulement)

609 298-1035 (à l'extérieur des États-Unis)

Vivre avec une surcharge ferrique



témoignage vidéo

Je m'appelle Bob Weinberg. En 1998, à l'âge de 48 ans, j'ai reçu un diagnostic de SMD et d'anémie réfractaire avec sidéroblastes en couronne (ARSC). Voici mes statistiques: depuis lors, j'ai reçu plus de 850 unités de culots globulaires, mon taux de globules blancs se situe aux environs de 2,0, ma numération absolue des neutrophiles (NAN), entre 500 et 700 et mes plaquettes, entre 30 000 et 40 000. Ma numération des blastes est à moins de 5 %. Je reçois actuellement des transfusions à peu près tous les sept à huit jours. Je prends 2 500 mg d'Exjade® par jour. Mon taux de ferritine, vérifié tous les mois, varie de 450 à 700.

Laissez-moi vous résumer mon expérience de la prévention de la surcharge ferrique associée à toutes ces transfusions. Pendant environ un an après mon diagnostic, en mai 1998, j'ai eu besoin de transfusions tous les mois. En février 1999, j'ai reçu un appel de mon hématologue qui me demandait de me présenter à son bureau pour faire la connaissance d'un professionnel de services de soins à domicile afin de discuter d'un traitement chélateur du fer. Mon taux de ferritine avait atteint 1 000; j'étais bien loin de la normale, qui se situe entre 22 et 322. Il m'a expliqué qu'avec chaque nouvelle transfusion, je recevais une dose de fer supplémentaire et que mon corps n'avait aucun moyen naturel de s'en débarrasser. Éventuellement, le fer allait s'accumuler au point où il entrerait dans mes organes et risquait alors d'endommager mon cœur, mon foie et d'autres tissus; cela pouvait devenir fatal. Il m'a expliqué que la chélation du fer reposait sur l'administration d'un médicament appelé déféroxamine (nom de marque: Desferal®) qui se lie au fer et facilite son élimination de l'organisme dans l'urine.

J'ai donc rencontré le personnel de l'agence de soins à domicile. On m'a montré un appareil, semblable à une pompe à insuline, comportant un réservoir capable d'administrer la déféroxamine en perfusions goutte à goutte pendant huit heures par voie sous-cutanée (sous la peau). Le problème, c'est que je devais me piquer l'abdomen et fixer l'aiguille en place pendant huit heures. Ils étaient désolés de ne pas pouvoir administrer le chélateur par voie orale. Le médicament causait des réactions cutanées et le point de perfusion devenait rouge vif et douloureux. Nuit après nuit, sept jours par semaine, je me suis piqué et j'essayais de dormir avec cette pompe à mes côtés, le tube enroulé autour de moi. Je me suis astreint à ce traitement toutes les nuits, de février 1999 à janvier 2007. Parfois, le petit tube qui reliait le réservoir de médicament au point de perfusion se bloquait et une alarme aiguë me réveillait, mais le pire était la réaction cutanée à plusieurs endroits où la perfusion était administrée. On aurait dit que je portais une ceinture de furoncles rouges autour de la taille. Je n'en reviens pas d'avoir toléré ce traitement, mais j'y suis arrivé.

Après avoir connu un certain découragement à cause de la douleur et des désagréments de la pompe à perfusion, j'ai entendu dire qu'on essayait de mettre au point un chélateur oral. Mon taux de ferritine atteignait alors 1 700. Je me suis adressé à un expert international non pas des SMD, mais du traitement de la surcharge ferrique post-transfusionnelle. Il a demandé une IRM de mon cœur et de mon foie et chaque année depuis, je subis ces tests. Après l'approbation du chélateur oral Exjade® par la FDA, j'ai abandonné la détestable pompe et je suis passé à Exjade®.

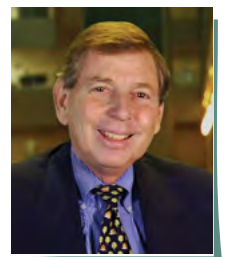
Ce médicament est présenté en pastilles de la taille d'un vingt-cinq cents environ, contenant chacune 500 mg. La posologie est calculée selon le poids corporel. Je place cinq de ces pastilles (2 500 mg) dans 225 mL (sept onces) de jus d'orange tous les soirs avant de me coucher. J'utilise un contenant de plastique de 375 mL (douze onces) muni d'un couvercle étanche et entouré d'un ruban élastique pour indiquer la marque de 225 mL (sept onces). Je laisse le médicament se dissoudre toute la nuit dans le jus d'orange et le matin, dès le réveil, après l'avoir agité vigoureusement une ou deux fois, je bois le mélange. Il faut boire le mélange à jeun et attendre 30 minutes avant de manger quoi que ce soit. Je prépare le mélange avant d'aller au lit pour ne pas être obligé d'attendre sa dissolution 15 à 20 minutes le matin et 30 autres minutes avant de manger. J'ai besoin de mon café plus vite que ça au lever et ces quinze ou vingt minutes supplémentaires me permettent d'assouvir ma dépendance à la caféine plus rapidement.

L'inconvénient d'Exjade®, ce sont ses effets sur l'appareil digestif. C'est incroyable la rapidité avec laquelle ce médicament déclenche mon envie d'aller à la toilette. La diarrhée est fréquente et parfois intense. C'est une bonne idée de ne pas trop s'éloigner d'une salle de toilette dans le courant de la journée. Mais, comme ceux d'entre nous qui souffrent du SMD le savent trop bien, il y a des choses qu'on n'a pas le choix d'accepter. Des patients atteints de SMD m'ont parlé d'autres effets secondaires dont certains sont beaucoup plus graves que les miens.

Au printemps de 2007, j'ai commencé à prendre Vidaza® pour augmenter mes numérations sanguines. En juillet de cette année-là, mon hémoglobine a commencé à augmenter pour atteindre éventuellement 14,5. J'avais du mal à contenir ma joie quand j'ai vu ces chiffres sur mon rapport de formule sanguine sans mention particulière pour indiquer un taux anormalement bas. Pendant cinq mois, je n'ai pas eu besoin de transfusions. Pendant cette période, même si je n'ai eu aucune transfusion, j'ai continué de prendre Exjade® tous les jours. Une fois que Vidaza® a cessé de fonctionner, j'ai dû recommencer à recevoir des transfusions. Mon taux de ferritine était passé de 1 500 à juste en-dessous de 400. Au cours des six ans ou presque qui se sont écoulés depuis, même avec des transfusions tous les sept à huit jours à présent, mon taux de ferritine se maintient généralement entre 500 et 700. De toute évidence, en plus d'être beaucoup plus facile à administrer, Exjade® semble beaucoup plus efficace que la déféroxamine.

Les médecins ne semblent pas s'entendre sur le bien-fondé du traitement par chélateur du fer chez les patients atteints de SMD. Je crois que cela est dû au fait que les patients atteints de SMD de risque élevé risquent de ne pas vivre assez longtemps pour connaître les effets de la surcharge ferrique. Mais pour moi, qui commençais avec un score IPSS de risque inférieur, les chances que je vive plusieurs années avec des transfusions signifiaient que j'allais vivre assez longtemps pour éventuellement mourir des suites de la surcharge ferrique. Je remercie mon hématologue pour cet appel téléphonique moins d'un an après mon diagnostic et pour l'amorce du traitement par chélateur. Cela m'a permis de continuer à vivre quatorze ans et demi de plus, avec des transfusions.

Bob Weinberg



MON PLAN SMD

Comprendre le diagnostic de SMD vous aidera, vous et votre aidant, à jouer un rôle actif dans votre plan de traitement individuel. La rubrique Mon plan SMD propose plusieurs outils pour vous permettre de créer un profil individualisé qui tiendra compte de votre diagnostic de SMD, de votre bilan de santé et identifiera les membres de votre équipe soignante. Le plan inclut aussi des outils pour suivre votre évolution.

collaborateurs à la rédaction

Erin Demakos
Sandra Kurtin
Sara Tinsley

MON PLAN SMD

| | |
|--|----|
| Comment jouer un rôle actif dans vos soins | 3 |
| Suivre votre traitement | 4 |
| <i>Résultats des premières analyses de laboratoire</i> | |
| <i>Traitements pour le SMD</i> | |
| <i>Résultats des analyses de moelle osseuse</i> | |
| <i>Numérations sanguines et transfusions</i> | |
| <i>Rendez-vous et questions</i> | |
| Mon bilan de santé | 9 |
| <i>Antécédents médicaux</i> | |
| <i>Médicaments d'ordonnance</i> | |
| <i>Médicaments en vente libre</i> | |
| <i>Mon équipe soignante</i> | |
| <i>Renseignements sur l'emploi et l'assurance</i> | |
| Foire aux questions | 15 |
| Lectures suggérées | 18 |
| Pour rester bien | 19 |
| Références sélectionnées | 24 |
| Ressources additionnelles | 25 |
| Vivre avec le SMD: Témoignages de patients | 26 |

Le diagnostic de SMD

Les syndromes myélodysplasiques appartiennent à une famille d'insuffisances de la moelle osseuse qui s'accompagnent de pronostics, d'options thérapeutiques et de taux de survie variables. Se faire dire qu'on est atteint d'un SMD peut susciter beaucoup d'émotions, notamment la peur et l'incertitude. L'incertitude quant au diagnostic, quant aux traitements qui pourraient vous convenir, quant à leur efficacité et quant aux effets secondaires que vous pourriez éprouver nourrit la peur et l'anxiété. En comprenant votre diagnostic de SMD, vous et votre aidant pourrez jouer un rôle plus actif dans l'élaboration de votre plan de traitement individuel et ainsi, vous pourrez prendre des décisions plus éclairées quant aux options thérapeutiques à choisir.

Explorer *Les bases de l'espoir*

Donnez-vous le temps de vous habituer au diagnostic. Prenez le temps d'explorer la brochure *Les bases de l'espoir*, qui propose plusieurs ressources pour vous aider à mieux comprendre votre diagnostic et des stratégies pour jouer un rôle actif dans votre périple avec le SMD. Le partenariat que vous établirez avec votre équipe soignante, vos aidants et vos proches, vous aidera à VIVRE avec le SMD. Demandez l'aide de votre famille, de vos amis ou de vos professionnels de la santé. Envisagez la possibilité de vous joindre à un groupe d'entraide, soit en personne, ou soit en ligne. D'autres personnes qui vivent avec un SMD pourraient avoir de bonnes suggestions pour mieux composer avec cette maladie.

Activités quotidiennes

Alimentez-vous bien, restez actif et passez du temps avec vos êtres chers. Le fait de bien manger, de faire de l'exercice, de bien dormir et de participer à des activités entre amis et avec votre famille améliorera votre bien-être général.

Suivre vos progrès



Suivre votre traitement

Résultats des premières analyses de laboratoire

| Test diagnostique | Résultats normaux | Mes résultats | Date | Notes |
|---|--------------------------------|----------------------|-------------|--------------|
| Hémoglobine | Femmes: 12,5 – 16,5 g/dL | | | |
| | Hommes: 13,5 – 17,5 g/dL | | | |
| Formule leucocytaire (globules blancs) | 3,5 – 10 x 10 ⁹ /L | | | |
| Numération absolue des neutrophiles (NAN) | 1,5 – 8,0 x 10 ⁹ /L | | | |
| Numération plaquettaire | 150 – 450 x 10 ⁹ /L | | | |
| Érythroprotéine sérique | 2,6 – 18,5 UI/mL | | | |
| Fer sérique | 9 – 32 µmol/L | | | |
| Folate sérique | 7 – 36 nmol/L | | | |
| B12 sérique | 74 – 516 pmol/L | | | |
| Thyréostimuline (TSH) | 0,4 – 5,0 mU/L | | | |
| Test diagnostique | Résultats normaux | Mes résultats | Date | Notes |
| Classification OMS | | | | |
| Classification FAB | | | | |
| % de blastes | | | | |
| Profil cytogénétique | | | | |
| Score IPSS/IPSS-R | | | | |

L'éventail des valeurs normales peut varier selon les laboratoires

OMS: système de classification de l'Organisation mondiale de la Santé; FAB: système de classification franco-américano-britannique
 IPSS: système de classification pronostique international ou *International Prognostic Scoring System*
 IPSS-R: version révisée de l'IPSS
 (Voir: *Quelle est la gravité de mon SMD?* et *Le calculateur de score IPSS-R*)

autocollant ID-patient

Suivre votre traitement

Numérations sanguines et transfusions

| Date | Hb | Globules blancs | NAN | Plaquettes | Ferritine/autres analyses | Transfusions | Notes |
|------|----|-----------------|-----|------------|---------------------------|--------------|-------|
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |
| | | | | | | | |

Hb: hémoglobine; NAN: numération absolue des neutrophiles (globules blancs totaux x % segments et bâtonnets)



Suivre votre traitement

Rendez-vous et questions

Cette section vous aidera à planifier vos rendez-vous en vue des visites médicales, des transfusions, des tests médicaux et autres traitements; y compris toute préparation nécessaire en vue de vos rendez-vous. Elle vous fournira aussi une façon de vous souvenir des points dont vous voulez discuter avec vos professionnels de la santé ou des questions que vous et les membres de votre famille/aidants souhaitez poser à votre médecin. Vous aurez peut-être besoin d'une autre feuille pour noter vos questions.

| Date | Jour de la semaine | Heure | Professionnel/clinique | Notes/questions/préparation |
|------|--------------------|-------|------------------------|-----------------------------|
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |

| MON BILAN DE SANTÉ | | |
|--------------------------------------|----------------------------|-------------|
| Nom | | |
| Date de naissance | Numéro d'assurance sociale | |
| Adresse | | |
| Ville | Province | Code postal |
| Téléphone à domicile | Téléphone cellulaire | |
| Téléphone au travail | Courriel | |
| Aidants | | |
| Nom/lien | | Téléphone |
| | | |
| | | |
| | | |
| | | |
| | | |
| Personnes à joindre en cas d'urgence | | |
| | | |
| | | |
| État civil/situation de vie | | |
| | | |

| ANTÉCÉDENTS MÉDICAUX | |
|--------------------------|------|
| Diagnostic | Date |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| Antécédents chirurgicaux | Date |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |
| | |

| MÉDICAMENTS D'ORDONNANCE | | | |
|--|--------------|------------|------------|
| Médicament/dose/posologie | Prescrit par | Date début | Date arrêt |
| Ondansétron - 8 mg - toutes les 8 heures au besoin | Dr Tremblay | 12/12/13 | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |

| MÉDICAMENTS SANS ORDONNANCE | | | |
|--|--------------|------------|------------|
| Médicament/dose/posologie | Prescrit par | Date début | Date arrêt |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| Médicaments « naturels »/complémentaires | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |

Voir aussi encart pour l'insertion de cartes d'affaires

| MON ÉQUIPE SOIGNANTE | | | |
|--|----------------|------------------|--------------------|
| Professionnel de la santé et spécialité | Adresse | Téléphone | Télécopieur |
| Référé par | | | |
| Soins primaires | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |
| | | | |

| RENSEIGNEMENTS SUR L'EMPLOI | | |
|-----------------------------|----------------|-------------|
| Employeur | Titre de poste | |
| Adresse | Superviseur | |
| Ville | Province | Code postal |
| Téléphone | | |

| RENSEIGNEMENTS SUR L'ASSURANCE | | |
|--|----------------------------|-------------|
| Personne assurée ou garant <input type="radio"/> soi <input type="radio"/> conjoint <input type="radio"/> parent | | |
| Date de naissance | Numéro d'assurance sociale | |
| Employeur | Téléphone | |
| Adresse | | |
| Ville | Province | Code postal |
| Nom de l'assureur | | Numéro ID |
| Personne contact | | |

| | | |
|--|----------------------------|-----------|
| Personne assurée ou garant <input type="radio"/> soi <input type="radio"/> conjoint <input type="radio"/> parent | | |
| Date de naissance | Numéro d'assurance sociale | |
| Employeur | Téléphone | |
| Adresse | | |
| Ville | Province | Ville |
| Nom de l'assureur | | Numéro ID |
| Personne contact | | |

Qu'est-ce que le SMD? *(MDS Foundation, 2011)*

Le SMD forme un groupe d'insuffisances de la moelle osseuse (médullaires). La moelle osseuse est l'usine qui fabrique les cellules sanguines, notamment les globules rouges, les globules blancs et les plaquettes. Dans les SMD, diverses anomalies malignes rendent la moelle osseuse dysfonctionnelle. Il en résulte une incapacité de fabriquer des cellules sanguines à maturité et normales, ce qui entraîne des baisses des numérations sanguines (cytopénies). Il existe plusieurs types de SMD dont le pronostic, les options thérapeutiques et les risques à l'égard de la leucémie varient.

Le SMD est-il un cancer? *(Bejar et coll., 2011)*

Le diagnostic de SMD repose sur les résultats d'une ponction et biopsie de moelle osseuse. Les échantillons sont analysés par des anatomopathologistes qui se spécialisent dans les maladies du sang. Le diagnostic de SMD dépend de la présence de certaines caractéristiques malignes, telles que des anomalies dysplasiques ou cytogénétiques. La recherche reconnaît désormais certaines anomalies moléculaires qui joueraient un rôle dans l'apparition du SMD. Compte tenu des caractéristiques malignes sous-jacentes de la maladie, le SMD est considéré comme une forme de cancer du sang.

Par quoi le SMD est-il causé? *(Greenberg et coll., 2011, Sekeres, 2011; Sekeres et coll., 2011)*

La cause du SMD est inconnue dans plus de 80 % des cas diagnostiqués. La maladie est plus fréquente chez les hommes (rapport hommes:femmes, 4,5:2 par 100 000). Comme c'est le cas dans de nombreux types de cancer, le vieillissement est un facteur prédisposant. La majorité des patients (86 %) atteints de SMD ont plus de 60 ans. L'exposition à des substances chimiques, comme le benzène et d'autres solvants, de même qu'à la fumée du tabac accroissent le risque de souffrir d'un SMD. Les patients qui reçoivent certains types de chimiothérapie ou de radiothérapie pour d'autres cancers pourraient être exposés à un risque accru à l'égard du SMD induit par ces traitements.

Le SMD est-il héréditaire? *(Sekeres, 2011)*

Les prédispositions génétiques héréditaires au SMD et aux anomalies congénitales sont rares. Avant 1973, seulement 143 cas de SMD avaient été signalés. De nos jours, grâce aux techniques d'analyses des données, leur incidence estimée varie de 15 000 à 162 000 cas par année, aux États-Unis. Ce vaste écart rappelle les caractéristiques diagnostiques complexes du SMD. À mesure que l'on apprend à mieux connaître les caractéristiques du SMD, les médecins le détectent plus souvent chez des patients qui présentent des cytopénies (numérations sanguines faibles). La mise au point d'options thérapeutiques peut influencer à la hausse sur le nombre de patients candidats à des examens diagnostiques. Et le nombre croissant de patients traités au moyen d'agents cytotoxiques pour d'autres cancers s'accompagne d'un risque accru de cancers secondaires, dont le SMD. Cogle et coll., 2011; Ma et coll., 2007, Sekeres, 2001).

Quels sont les symptômes du SMD? *(Kurtin, 2011)*

De nombreux patients sont asymptomatiques et leur diagnostic est posé de façon fortuite, lors d'examens de routine. Pour d'autres, les symptômes sont vagues et ils sont associés à une ou plusieurs cytopénies (numérations sanguines faibles):

- Fatigue, essoufflement, palpitations (symptômes courants de l'anémie)
- Fièvre, infections à répétition ou persistantes (symptômes fréquents de la neutropénie)
- Ecchymoses, pétéchies ou saignements (symptômes fréquents de la thrombocytopénie)

Comment diagnostique-t-on le SMD? *(Kurtin, 2011, National Comprehensive Cancer Network, 2011)*

L'examen initial du patient inclut le plus souvent une formule sanguine complète (FSC) qui révèle une anémie normocytaire ou macrocytaire, des numérations normales ou augmentées de neutrophiles et des numérations plaquettaires variables. L'anémie s'observe chez 90 % des patients atteints de SMD, soit au moment où ils consultent initialement, soit à mesure que la maladie évolue. Une anamnèse soigneuse et des analyses de laboratoire additionnelles s'imposent pour écarter les autres causes de cytopénies.

Quelles sont mes options thérapeutiques? *(Greenberg et coll., 2011)*

On individualise le traitement du SMD en fonction des caractéristiques de la maladie et de l'analyse du risque. Les options thérapeutiques varient aussi d'une région à l'autre selon les processus d'approbation des médicaments. Les objectifs du traitement du SMD se fondent sur les caractéristiques de la maladie et du patient et sur la catégorie de risque. Aux États-Unis, le score IPSS (*International Prognostic Scoring System*) permet de classer les divers sous-types de SMD en deux grands groupes: risque faible et intermédiaire-1 ou risque intermédiaire-2 et élevé. L'objectif du traitement de chacune des catégories diffère selon les prévisions de survie et le risque de transformation leucémique. On a procédé à une révision du score IPSS (désormais IPSS-R) afin de préciser davantage les catégories de risque et orienter le choix des traitements. Le système de classification pronostique de l'Organisation mondiale de la santé offre des lignes directrices thérapeutiques similaires et est couramment utilisé en Europe.

Les transfusions sanguines sont-elles dangereuses? *(Kurtin, 2011, National Comprehensive Cancer Network, 2012)*

L'organisme possède normalement un mécanisme très efficace de contrôle de ses réserves de fer. Or, chaque unité de sang transfusé fournit un excédent de fer par rapport aux besoins quotidiens normaux et après de multiples transfusions, les stocks de fer excédentaires dépassent les taux que le mécanisme normal de l'homéostasie du fer peut gérer; cela entraîne une accumulation du fer jusqu'à des niveaux toxiques, qui endommagent les cellules.

Il existe une forte corrélation entre l'intensité du traitement transfusionnel (nombre d'unités administrées/unité de temps) et l'atteinte des organes cibles. L'accumulation de fer peut endommager les organes cibles.

cœur – insuffisance cardiaque congestive

glandes endocrines – diabète

foie – augmentation des taux d'enzymes hépatiques, hépatomégalie, douleur

moelle osseuse – hématopoïèse anormale

Compte tenu de ces données et des risques d'aggravation de l'insuffisance médullaire, la dépendance aux transfusions est considérée comme un signal pour amorcer un traitement modifiant la maladie pour le SMD.

Dans quelle mesure suis-je susceptible de me sentir mieux avec le traitement?

La réponse au traitement chez les patients atteints de SMD varie selon les catégories de risque IPSS et selon d'autres indices pronostiques. La greffe de moelle osseuse allogénique demeure la seule option à visée curative à ce jour. Toutefois, les patients peuvent bénéficier des traitements offerts actuellement et on a observé des réponses durables.

Combien de temps faudra-t-il au traitement pour agir?

Il faut au moins quatre à six mois de traitement avant d'évaluer une réponse initiale et la meilleure réponse pourrait ne pas se manifester avant neuf mois de traitement.

Quelle est la durée prévue du traitement? *(Kurtin, 2011)*

Compte tenu du nombre limité d'options thérapeutiques et de la nature irréversible de la maladie, les traitements modifiant la maladie dans les cas de SMD sont maintenus jusqu'à ce que la maladie progresse ou jusqu'à l'apparition de signes de toxicité inacceptables.

Quels sont les effets secondaires courants du traitement et que peut-on faire pour les gérer?

(Kurtin, 2011; Kurtin et Demakos, 2010)

- L'effet secondaire le plus courant de tous les traitements est la myélosuppression, ce qui comprend anémie, neutropénie et thrombocytopénie.
 - On recommande de procéder à une formule sanguine complète avec différentielle et à une numération plaquettaire toutes les semaines pendant les huit premières semaines de traitement.
 - Il faut s'attendre à ce que les cytopénies s'aggravent avant de s'améliorer.
 - On préconise l'application de stratégies de soins de soutien, notamment par le biais de facteurs de croissance et de transfusions.
 - Chaque fabricant formule des lignes directrices spécifiques en ce qui concerne les modifications de doses de médicament ou les congés thérapeutiques sur la base des résultats des essais cliniques.
- **Nausées et vomissements:** tous les agents
 - L'administration de médicaments contre les nausées est une stratégie efficace pour atténuer les nausées et les vomissements.
- **Constipation:** agents hypométhylants; aussi estimée liée à l'administration d'antiémétiques de type anti-5HT3
 - Un schéma favorisant la régularité intestinale incluant un amollisseur de selles et des laxatifs au besoin réduiront la gravité de la constipation associée au traitement.
 - De plus, une bonne gestion alimentaire et la pratique régulière d'exercice aideront.
- **Toxicités rénales et hépatiques:** plus courantes chez les adultes âgés
 - Des analyses de laboratoire effectuées au départ et de manière régulière permettront de repérer sans tarder les toxicités rénales et hépatiques potentiellement associées au traitement pour que des correctifs soient rapidement apportés.
- **Effets indésirables spécifiques du médicament**
 - Azacitidine: réactions au point d'injection
 - Lénalidomide: érythème cutané, prurit, diarrhée, programme de sécurité pour la lénalidomide
- **Surcharge ferrique**
 - Un traitement chélateur peut être associé à des cytopénies et à des toxicités rénales et hépatiques.

Quels seront les prochains traitements pour les patients atteints de SMD? (Garcia-Manero, 2011;

Kurtin, 2011)

Des essais cliniques continuent d'explorer les options thérapeutiques pour le SMD et demeurent recommandés dans les cas où les options thérapeutiques sont limitées, comme avec le SMD. Ces essais offrent de l'espoir aux patients qui ont peu profité des traitements approuvés ou qui présentent une maladie à risque élevé les rendant peu susceptibles de répondre aux traitements existants. Chaque pays applique un processus distinct pour la supervision des essais cliniques et l'approbation des médicaments.

Que puis-je faire pour rester en santé?

Les principes généraux d'une saine hygiène de vie demeurent importants. Un régime alimentaire équilibré, la pratique quotidienne d'exercice selon la tolérance et la participation à des activités agréables sont essentiels au maintien d'un état de santé et de bien-être optimaux. La prise en charge des comorbidités au fur et à mesure est également importante pour maintenir le meilleur état de santé possible et pour demeurer candidat à de futures options thérapeutiques.

Vivre avec des numérations sanguines basses



- Bejar, R., Levine, R., et Ebert, B.L. (2011) *Journal of Clinical Oncology*, 29, 504–515. doi:10.1200/JCO.2010.31.1175
- ClinicalTrials.gov (2012) *Search for clinical trials*. Tiré de <http://www.clinicaltrials.gov/ct2/search>
- Demakos, W., Kurtin, S. (2011) Disease burden and treatment impact associated with Myelodysplastic Syndromes: Initial estimates [résumé 354]. *Leukemia Research*, 35 (suppl. 1), S142
- Garcia-Manero, G. (2011) *American Journal of Hematology*, 86, 490–498. doi:10.1002/ajh.22047/10.1002/ajh.22047
- Greenberg, P. et coll. (2011) *Journal of the National Comprehensive Cancer Network*, 9, 30–56
- Kurtin, S. et coll. (2012) *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 16,3(S), 58–64 doi:10.1188/12.CJON.S1.58–64
- Kurtin, S. (2011) *Journal of the Advanced Practitioner in Oncology*, 2(suppl. 2), 7–18
- Kurtin, S.E., et Demakos, E.P. (2010) *Clinical Journal of Oncology Nursing*, 14, E29–E44. doi:10.1188/10.CJON.E24–E39
- Life Beyond Limits (2011) *MDS treatment matters*. Tiré de <http://www.mdslifebeyondlimits.org>
- MDS Foundation (2012) *Page d'accueil*. Tiré de <http://www.mds-foundation.org>
- National Comprehensive Cancer Network Treatment Guidelines: Myelodysplastic Syndromes (2012)**
Tiré de http://www.nccn.org/professionals/physician_gls/PDF/mds.pdf
- National Marrow Donor Program (2011) *Be the match*. Tiré de <http://marrow.org/Home.aspx>
- Sekeres, M.A. (2011) *Journal of the National Comprehensive Cancer Network*, 9, 57–63
- Sekeres, M.A., et coll. (2011) *Oncologist*, 16, 904–911. doi:10.1634/theoncologist.2010–0199

Manger sainement

Une alimentation saine débute avec un plan. Si vous mangez sainement, votre organisme reçoit les nutriments et l'énergie qui lui permettent de passer la journée. Un régime alimentaire équilibré peut aider à combattre la fatigue et la maladie. Un apport alimentaire et liquidien suffisant aide aussi à mieux tolérer le traitement. Les éléments clés d'une saine alimentation sont: hydratation, fruits et légumes, grains entiers, produits laitiers à faible teneur en gras et sucres et aliments préparés en quantité limitée.



Le diagnostic de SMD affecte différemment la nutrition de chaque personne. Certaines ont de la difficulté à manger et perdent du poids et d'autres, non. L'expérience du cancer varie d'une personne à l'autre et les objectifs nutritionnels varieront en conséquence. Une diététiste pourra vous aider à établir vos objectifs pour bien manger et maintenir votre poids. Une bonne ressource à consulter pour débiter est également le Guide alimentaire canadien, à l'adresse www.hc-sc.gc.ca/fn-an/food-guide-aliment/index-fra.php

Dois-je suivre un régime alimentaire particulier en raison du SMD?

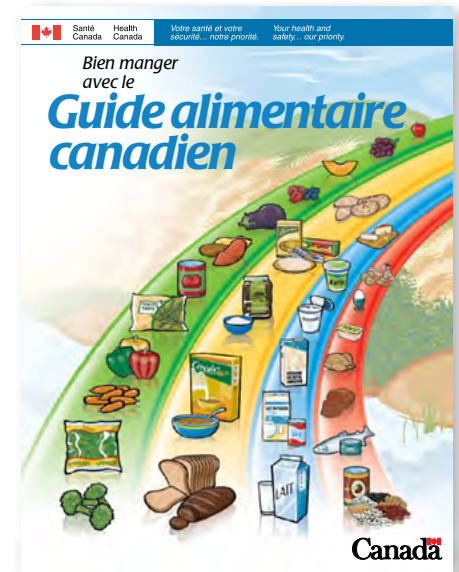
Les personnes atteintes de SMD peuvent devoir suivre un régime alimentaire particulier si leur taux de globules blancs est très bas ou si elles doivent subir une greffe de cellules souches. Demandez à votre professionnel de la santé ce qu'il vous recommande, parce que les lignes directrices en ce qui concerne l'alimentation des personnes neutropéniques varient d'un centre oncologique à l'autre.

Guide alimentaire général

Ce qu'il faut surtout garder à l'esprit, c'est de maintenir un régime alimentaire équilibré et une bonne hydratation. Chaque personne aura des besoins particuliers en fonction de son alimentation de base au départ (régime végétarien, végétalien, casher, sans gluten, diabétique, etc.) et de ses autres besoins personnels (antécédents de chirurgie intestinale, santé dentaire, syndrome du côlon irritable, allergies alimentaires, etc.). Il est utile de rencontrer une diététiste pour déterminer vos besoins caloriques quotidiens et la façon de les combler au moyen des aliments que vous appréciez.

Guide alimentaire pour manger sainement

- Consommez des fruits et des légumes.
 - Ils peuvent être frais, congelés ou en conserve.
 - Consommez plus de légumes verts, comme des légumes-feuilles ou du brocoli, des légumes oranges, comme les carottes et les patates douces.
 - Lavez bien les fruits et les légumes avant de les consommer.
- Variez vos sources de protéines; consommez plus de poissons, de légumineuses et de pois.
- Consommez chaque jour au moins 95 mg (trois onces) de céréales, pain, craquelins, riz ou pâtes alimentaires de grains entiers.
- Prenez trois portions de produits laitiers écrémés ou à faible teneur en gras (lait, yogourt ou fromage) enrichis de vitamine D pour garder vos os en bonne santé.
- Choisissez des gras qui sont bons pour la santé (polyinsaturés et mono-insaturés).



- Si vous devez subir une greffe de cellules souches, vous devrez peut-être observer un régime alimentaire pour personnes neutropéniques (pour les personnes dont les numérations sanguines sont très basses en raison d'une greffe de cellules souches ou du traitement de la leucémie).
 - Évitez la viande et le poisson crus ou saignants et les œufs crus ou trop peu cuits. Faites bien cuire la viande et les œufs (évités que les jaunes soient coulants).
 - Évitez les bars à salade et les comptoirs de charcuterie. Achetez les viandes prétranchées en emballage sous vide plutôt que de les faire trancher.
 - Ne consommez que du lait, du yogourt, du fromage et autres produits laitiers pasteurisés.
 - Évitez les fromages à pâte molle affinés aux moisissures ou bleus, le brie, le camembert, le roquefort, le stilton, le gorgonzola et autres bleus.
 - Évitez l'eau de puits ou faites-la bouillir une minute avant de la consommer. À la maison, vous pouvez boire l'eau du robinet ou de l'eau en bouteille.

Hydratation

Les liquides sont un élément essentiel de tout régime alimentaire sain. Votre organisme a besoin de liquides pour bien fonctionner, comme une voiture a besoin d'essence. L'hydratation adéquate varie d'une personne à l'autre. L'objectif de l'hydratation est d'éviter la déshydratation, sans consommer trop de liquides. Voici quelques trucs pour améliorer votre hydratation.

- Transportez toujours avec vous des liquides.
- Si la consommation d'un verre entier provoque des ballonnements, prenez plutôt de petites gorgées tout au long de la journée.
- Buvez surtout entre les repas.



Exercice

Le symptôme que les patients atteints de SMD signalent le plus souvent est la fatigue. Une des meilleures stratégies pour lutter contre la fatigue est de faire de l'exercice. Alors, bougez pour chasser votre fatigue! Plusieurs études ont montré que l'exercice réduit le degré de fatigue et de détresse émotionnelle. L'exercice améliore le fonctionnement



et la qualité globale de la vie. Des études ont porté sur divers types d'exercices chez les patients atteints de cancer aux différentes phases du traitement, y compris l'exercice aérobique, la musculation et les étirements. Parmi les exemples d'exercices aérobiques étudiés, mentionnons la marche et la bicyclette.

Avant de commencer un nouveau programme d'exercice, il est sage de discuter de vos plans avec un professionnel de la santé pour vous assurer qu'il soit sécuritaire, compte tenu de votre état. Des programmes d'exercice individuels peuvent être conçus pour répondre à la plupart des besoins. Il est possible de modifier un programme d'exercice pour l'adapter à chaque personne en fonction de son âge, de son sexe, de son type de SMD et de son traitement et de son

niveau de forme physique. Il faut tenir compte des numérations sanguines avant de faire de l'exercice. Si vous êtes neutropénique, il est préférable d'éviter les piscines et les spas. Dans les cas d'anémie grave, l'exercice aérobique doit être effectué après une transfusion lorsque l'hémoglobine se situe à un niveau sécuritaire. Si le taux de plaquettes est inférieur à 50 000, on évitera les sports de contact pour prévenir les saignements. En cas de doute, adressez-vous à votre équipe soignante. En général, l'objectif est surtout de bouger. Commencez lentement et allez-y progressivement en vous fixant des objectifs réalistes en cours de route. Faites-vous aider de votre famille et de vos amis.

Sommeil

Le bien-être commence par une bonne nuit de repos, ce qui est parfois difficile lorsqu'on reçoit un diagnostic de SMD. Rassurez-vous, vous n'êtes pas seul à éprouver des troubles du sommeil. De 33 % à 50 % des patients atteints de cancer constatent que leur cycle de sommeil change. Les troubles du sommeil ont été associés à la maladie physique, à la douleur, aux hospitalisations, à la prise de médicaments et à l'impact psychologique d'un diagnostic de cancer. Un piètre sommeil interfère avec votre capacité de bien fonctionner et accroît les risques de dépression et d'anxiété. Un déficit de sommeil est aussi associé à une moindre tolérance à la douleur. Il est clair qu'un sommeil adéquat améliore la qualité de vie.



Qu'est-ce qu'une bonne nuit de sommeil?

En règle générale, on estime qu'il faut de sept à neuf heures de sommeil par nuit, selon la National Sleep Foundation. Toutefois, tout comme l'exercice, le sommeil doit être individualisé. Une personne peut bien fonctionner avec sept heures de sommeil, tandis qu'une autre aura besoin de dormir dix heures. La recherche est également d'avis que les besoins et les déficits de sommeil peuvent varier selon chaque personne. Les besoins de sommeil de base représentent la quantité normale de sommeil requise chaque nuit, tandis que les déficits de sommeil représentent la quantité de sommeil perdue en raison du travail, de la maladie ou autre. Lorsqu'on manque constamment de sommeil, cela affecte toutes les sphères d'activité et peut causer des maladies.

Faire du sommeil réparateur une priorité

Cela commence par une évaluation des habitudes courantes de sommeil, incluant le nombre d'heures de sommeil, la qualité du sommeil et l'environnement. Si le sommeil est perturbé par des symptômes liés au SMD, il faut en discuter avec l'équipe soignante. Il existe diverses stratégies et des médicaments pour améliorer la qualité et la quantité de sommeil. Il peut être utile de suivre les quelques suggestions suivantes

- Respectez un horaire veille-sommeil régulier.
- Évitez les stimulants et la caféine deux heures avant d'aller au lit.
- Faites trente minutes d'exercice, trois à cinq fois par semaine.
- Limitez les siestes à 30 minutes durant le jour.
- Passez de 30 minutes à une heure dans le calme avant d'aller au lit.
- Discutez de vos problèmes de sommeil avec l'équipe soignante. Il faut parfois recourir à des médicaments pour l'anxiété, la dépression et l'insomnie.

Sortir

Un diagnostic de SMD bouleverse la vie. Comme de nombreux autres cancers, il comporte beaucoup d'incertitudes. Combien de temps me reste-t-il à vivre? La question suivante est habituellement: Quel sera l'impact du SMD sur ma qualité de vie. Les baisses de vos numérations sanguines peuvent limiter les activités auxquelles vous pourrez participer. C'est une question que l'on pose souvent aux professionnels de la santé.

Que puis-je faire sans danger lorsque je suis neutropénique?

Souvenez-vous, les neutrophiles sont un type de globules blancs qui protègent l'organisme contre l'infection. Les neutrophiles font partie de la formule leucocytaire totale. On peut trouver le nombre de neutrophiles dans la section différentielle de la formule sanguine complète (FSC). La neutropénie fait référence à une numération des neutrophiles inférieure à 1 000. Si votre numération leucocytaire totale est seulement à 1 000, vous avez alors une neutropénie. L'infirmière vous aidera à comprendre vos analyses sanguines.

Les lignes directrices en ce qui concerne les activités chez une personne neutropénique sont liées aux risques d'exposition à des personnes ou à des choses qui pourraient la rendre plus sujette à une infection. Bien sûr, les endroits bondés où l'on est très près les uns des autres sont propices à la transmission de maladies. Toutefois, l'infection dépend de nombreux facteurs. La majorité des infections que présentent les patients neutropéniques ne découlent pas d'une exposition à d'autres personnes ou à des endroits en particulier.

La plupart résultent plutôt de bactéries qui vivent déjà à l'intérieur du corps et qui deviennent problématiques lorsque la numération des neutrophiles diminue. La plupart des centres d'oncologie ont des protocoles pour les cas de neutropénie. Ces protocoles peuvent varier.

Vous trouverez ci-dessous les recommandations que l'on peut suivre en présence de neutropénie. Il ne s'agit que de lignes directrices et il faut mettre dans la balance la qualité de vie et le « respect des règles ».

- Le gros bon sens: Évitez les gens qui sont manifestement malades, évitez les foules et les endroits clos lorsque vos numérations sont basses, maintenez une saine hygiène de vie.
- Évitez de vous exposer à des personnes qui ont des infections respiratoires. Cela ne signifie pas qu'il vous est interdit de sortir, mais évitez tout contact étroit avec des personnes malades.
- Évitez les endroits bondés si vos numérations sont très basses. Cela ne s'applique pas à tous les patients atteints de SMD, seulement à ceux qui doivent subir une greffe de cellules souches, un traitement pour la leucémie ou dont les numérations sanguines sont très basses.
- Munissez-vous d'un désinfectant pour les mains et utilisez-le dans les endroits publics ou lorsque vous utilisez un téléphone, la toilette, etc.
- Lavez-vous souvent les mains.

La présence des enfants

Il est important de passer des moments agréables en compagnie de votre famille, y compris des enfants. La plupart des patients atteints de SMD peuvent profiter de la présence de leurs proches sans restriction. Voyez avec votre équipe soignante si elle vous recommande de limiter vos contacts avec des enfants.

Les recommandations spécifiques relativement au contact avec les enfants s'adressent aux patients qui doivent subir une greffe de cellules souches, un traitement pour la leucémie ou dont les numérations leucocytaires sont très faibles (neutropénie). Ces lignes directrices incluent d'éviter les expositions suivantes:

- Tout enfant qui fait de la fièvre ou qui montre des signes d'infection, comme un écoulement nasal ou une toux. Les infections virales sont chose courante chez les enfants qui fréquentent la garderie et cela comporte un risque de transmission de ces infections aux êtres chers.
- Les enfants qui reçoivent des vaccins vivants (p. ex., vaccin de la poliomyélite) peuvent sécréter le virus durant les quelques premières heures qui suivent la vaccination. Vérifiez auprès de votre professionnel de la santé si vous avez des questions au sujet du risque d'infection.
- Vous devez être au courant que les petits enfants pourraient être en période d'incubation de la varicelle ou de la rougeole. Si vous découvrez que vous avez été en contact avec un enfant qui a par la suite présenté la varicelle ou la rougeole, vous devez en informer votre professionnel de la santé.

Médicaments

Il est important de garder à jour la liste de tous vos médicaments, des prescripteurs, des doses et de la posologie, et de tout médicament qui a été cessé et pourquoi (voir: *Mon plan SMD*). Cela inclut les médicaments en vente libre et les médicaments dits « naturels ».

Tous les médicaments, qu'ils soient prescrits, en vente libre ou « naturels », peuvent provoquer des effets secondaires graves dans certains cas. Parmi les médicaments courants vendus sans ordonnance qu'il faut utiliser avec prudence, mentionnons:

- **Acétaminophène (Tylenol):**
 - Le médicament en vente libre le plus utilisé aux États-Unis.
 - Très souvent inclus dans d'autres médicaments d'association. Vérifiez les étiquettes pour voir si les noms acétaminophène ou Tylenol apparaissent dans la liste des ingrédients actifs.
 - Des doses de plus de 3 g par 24 heures peuvent être toxiques pour le foie.
 - Informez-vous auprès de votre équipe soignante au sujet de l'utilisation de l'acétaminophène pour la fièvre lorsque votre numération de globules blancs est basse, cela pourrait interférer avec la surveillance des épisodes de fièvre.
- **Les anti-inflammatoires** sont couramment utilisés pour soulager la douleur de l'arthrite, les maux de tête et la fièvre. Entre autres exemples, il y a l'ibuprofène, l'aspirine, Naprosyn et le méloxicam.
 - Cette classe de médicaments peut entraîner des problèmes en masquant les épisodes de fièvre durant les périodes de neutropénie et en plus d'interférer avec la fonction plaquettaire.
 - Lorsque votre numération plaquettaire est inférieure à 50 000, il faut s'abstenir de prendre les médicaments de cette classe, car ils peuvent accroître le risque de saignement.
- **Antihistaminiques:** On utilise souvent la diphenhydramine (Benadryl) avant les transfusions de culots globulaires et de plaquettes afin de prévenir les réactions transfusionnelles. Le principal effet secondaire signalé par les patients est la sédation. Ces agents peuvent aussi provoquer le syndrome des jambes sans repos et de l'agitation lorsque les doses de médicament sont plus élevées. Si vous éprouvez des effets secondaires désagréables, informez-vous auprès de votre équipe soignante au sujet de médicaments de rechange ou d'ajustements posologiques.

Traitements complémentaires

Un traitement complémentaire est utilisé en plus du traitement standard; il est présumé sécuritaire et ne comporte pas de risque. Les formes courantes de traitements complémentaires incluent:

- Acupuncture
- Aromathérapie
- Art-thérapie
- Biofeedback
- Parcours de labyrinthe
- Massothérapie
- Méditation
- Musicothérapie
- Prières et spiritualité
- Tai chi
- Yoga

Pour rester bien



Autres traitements complémentaires

Le jus de pousses de blé a fait l'objet d'études sur sa capacité d'éliminer le fer excédentaire chez les patients atteints de SMD et il a donné des résultats positifs. Il s'agissait d'une petite étude qui regroupait seulement 20 patients. Les participants ont bu une cuillerée à soupe de jus de pousses de blé frais tous les jours pendant six mois. On a noté une réduction de leurs taux de ferritine en moyenne de 2 250 à 950 ng/mL. On n'a signalé aucun effet secondaire négatif.

L'huile d'onagre s'est également révélée capable de réduire les réactions au point d'injection chez les patients qui reçoivent l'azacitidine par voie sous-cutanée. Ce traitement a été testé chez dix patients par des chercheurs allemands. Six patients sur dix ont observé une réduction de la rougeur et de l'irritation au point d'injection. L'huile d'onagre a été appliquée aux points d'injection tous les soirs. Ce produit est relativement peu coûteux. On peut se le procurer dans de nombreux magasins d'aliments naturels. Les effets secondaires qui ont été mentionnés ont été les maux de tête et les malaises gastriques.

A healthy diet and physical activity help reduce your cancer risk (2012) *CA: A Cancer Journal for Clinicians*, 62(1), 68-69. doi: 10.3322/caac.20139

Centers for Disease Control and Prevention. General recommendations on immunization: Recommendations of the Advisory Committee on immunization practices (ACIP) *Morbidity Mortality Weekly Rep.* 2006;55,1-48. Consulté à l'adresse www.cdc.gov/mmwr/preview/mmwrhtml/rr5515a1.htm le 21 Juin, 2012.

Finberg, R. (2012) Chapter 86. *Infections in Patients with Cancer*. In D.L. Longo, A.S. Fauci

Kamboj, M., Sepkowitz, K.A. (2007) Risk of transmission associated with live attenuated vaccines given to healthy persons caring for or residing with an immunocompromised. *Infection Control Hospital Epidemiology*. Juin; 28(6):702-7

Keogh, J. W. L. et MacLeod, R. D. (2012) Body Composition, Physical Fitness, Functional Performance, Quality of Life, and Fatigue Benefits of Exercise for Prostate Cancer Patients: A Systematic Review *Journal of Pain and Symptom Management* 43(1): 96-110

Kushi, L. H., Doyle, C., McCullough, M., Rock, C. L., Demark-Wahnefried, W., et Bandera, E. V., et coll. (2012) American Cancer Society guidelines on nutrition and physical activity for cancer prevention. *CA: A Cancer Journal for Clinicians*, 62(1), 30-67. doi: 10.3322/caac.20140

Luthy, K.E., Tiedeman, M.E., Beckstrand, R.L., et Mills, D.A. (2006) Safety of live-virus vaccines for children with immune deficiency. *Journal of American Academy of Nurse Practitioners*. Le 18 oct. (10):494-503

Miller, J., & Starks, B. (2010) Deciphering Clues in the CBC count. *Nursing* Juillet; 40 (7): 52-5

Mukhopadhyay, S., Mukhopadhyay, A., Gupta, P. R., Kar, M., et Ghosh, A. (2007) The Role of Iron Chelation Activity of Wheat Grass Juice in Blood Transfusion Requirement of Intermediate Thalassaemia. *ASH Annual Meeting Abstracts*, 110(11), 3829

Palesh, O.G., Roscoe, J.A., et Mustian, K.M., et coll. Prevalence, demographics, and psychological associations of sleep disruption in patients with cancer: University of Rochester Cancer Center-Community Clinical Oncology Program. *Journal of Clinical Oncology* 28 (2): 292-8, 2010

Platzbecker, U., Aul, C., Ehninger, G., et Giagounidis, A. (2010) Reduction of 5-azacitidine induced skin reactions in MDS patients with evening primrose oil. *Annals of Hematology*, 89(4), 427-428. doi: 10.1007/s00277-009-0824-5

Sudano, I., Flammer, A., Roas, S., Enseleit, F., Noll, G., et Ruschitzka, F. Nonsteroidal Antiinflammatory Drugs, Acetaminophen, and Hypertension. *Current Hypertension Reports*, 1-6. doi: 10.1007/s11906-012-0274-7

Wolf, M., King, J., Jacobson, K., Di Francesco, L., Bailey, S., et Mullen, R., et coll. Risk of Unintentional Overdose with Non-Prescription Acetaminophen Products. *Journal of General Internal Medicine*, 1-7. doi: 10.1007/s11606-012-2096

Assistance fournie par l'industrie pharmaceutique

Amgen

Victory Program 888 706-4717

Les programmes d'aide aux patients d'Amgen offrent des produits de remplacement pour les patients admissibles qui ne sont pas assurés ou dont la couverture est insuffisante et qui ont des ressources financières limitées. Le programme inclut Aranesp®, Neulasta®, NPlate®, Epogen®, Vectibix® et XGEVA®.

www.victoryassist.ca

Centocor Ortho Biotech, Inc.

ProcritLine 800 553-3851

Ressources pour aider les patients et les aidants à en apprendre davantage au sujet des traitements ou des programmes d'aide financière. Les heures d'ouverture sont du lundi au vendredi, de 9 h 00 à 20 h 00, HNE.

www.procritline.com

Celgene Corporation

Celgene-Soutien aux patients™ 800 931-8691

Programme RevAid® 888 738-2431

Programme d'accès à Vidaza 877 384-3292

Guichet unique pour aider les professionnels et les patients à trouver des ressources pour avoir accès aux produits Celgene, y compris Revlimid® et Vidaza®. On y répond à vos questions du lundi au vendredi, de 8 h 00 à 19 h 00, HNE.

www.CelgenePSC.com

www.Revaid.ca

www.Revlimid.com

www.Vidaza.com

Spectrum

Programme d'aide pour Eprex 877 793-7739

Drugcoverage.ca

Guide de remboursement des médicaments au Canada.

www.drugcoverage.ca/fr-ca



témoignage vidéo

Je m'appelle Bob Weinberg. En 1998, à l'âge de 48 ans, j'ai reçu un diagnostic de SMD et d'anémie réfractaire avec sidéroblastes en couronne (ARSC). Voici mes statistiques: depuis lors, j'ai reçu plus de 850 unités de culots globulaires, mon taux de globules blancs se situe aux environs de 2,0, ma numération absolue des neutrophiles (NAN), entre 500 et 700 et mes plaquettes, entre 30 000 et 40 000. Ma numération des blastes est à moins de 5 %. Je reçois actuellement des transfusions à peu près tous les sept à huit jours. Je prends 2 500 mg d'Ex-jade® par jour. Mon taux de ferritine, vérifié tous les mois, varie de 450 à 700. Je subis tous les ans une épreuve d'IRM (imagerie par résonance magnétique) de mon cœur et de mon foie pour y dépister la présence de fer accumulé.

Mon périple avec le SMD a commencé dans l'eau. Durant ma trentaine et ma quarantaine, j'étais un grand nageur. Chaque matin, avant de me rendre au travail dans une grande et stressante firme d'avocats de Philadelphie, je sortais du lit et encore engourdi de sommeil, je partais en direction du YMCA où je nageais quotidiennement mes 36 longueurs (un mille [1,6 km]). Je faisais partie d'un petit groupe de nageurs qui, encore somnolents, commençaient leur journée par une baignade. Côte à côte, nous glissions sur l'eau et, naturellement compétitifs, nous savions lesquels allaient nous dépasser et lesquels nous dépasserions. Cela a duré jusqu'à l'hiver et au printemps 1997-1998. Je me suis mis à trouver mes baignades matinales quelque peu déphasées. Les nageurs que j'avais l'habitude de dépasser me dépassaient, ceux qui me dépassaient une fois toutes les quatre longueurs me dépassaient deux fois plus rapidement. Alors, pour stimuler mon niveau d'énergie, je me suis dit qu'une séance de jogging s'imposait. Après avoir parcouru moins d'un pâté de maisons, j'ai dû m'arrêter, courbé en deux par une vive douleur à la poitrine, un essoufflement prononcé, des douleurs aux mollets, des palpitations et des étourdissements. Quelque chose n'allait pas. J'ai donc cessé le jogging après un essai et je suis retourné à la piscine. En l'espace de quelques mois, mon énergie et ma force avaient décliné au point où tous les nageurs me dépassaient. Je n'arrivais même plus à franchir six longueurs. J'ai commencé à avoir besoin d'une sieste l'après-midi, à 48 ans. Il était temps que je voie mon médecin et que je passe mon tout premier bilan de santé.

C'était un vendredi et le mardi suivant, de nouveaux mots entraient dans mon vocabulaire: « myélodysplasie » et « anémie sidéroblastique ». Je me suis précipité sur Google. Le premier article que j'ai lu était écrit par Carl Sagan. Je me doutais que les choses ne seraient plus jamais les mêmes. Mon frère et ma sœur se sont soumis à des tests pour vérifier la compatibilité de leur moelle osseuse. Les deux ont échoué. Mon interniste m'a demandé si « mes affaires étaient en règle » et c'est à ce moment-là que l'hématologue de l'hôpital local m'a dit que les patients comme moi, dont le taux d'hémoglobine est faible, mais dont les plaquettes et les globules blancs sont gérables, pouvaient survivre 15 ans avec des transfusions. Je suis ensuite allé voir le spécialiste des SMD d'un grand centre hospitalier universitaire pour une deuxième opinion. Il m'a dit de ne pas espérer vivre plus de cinq ans. Je lui ai rétorqué que j'avais reçu une meilleure offre de la part de mon hématologue à l'hôpital communautaire et il m'a dit qu'il n'avait rien de mieux à me proposer. Alors, bien sûr, j'ai pris l'offre la plus intéressante et j'ai commencé à recevoir mes traitements à l'hôpital communautaire, il y a maintenant de ça quatorze ans et demi.

Je n'en ai pas moins fait la tournée des plus grands centres et des plus grands experts au cours des dix années suivantes: Université Stanford, Memorial Sloan Kettering, Centre d'oncologie Moffitt, Université de Rochester, Mont Sinai. Je me rappelle de ma première consultation chez un spécialiste de renommée internationale. Je lui ai demandé la cause du SMD et il m'a répondu: « la malchance ». J'ai pris Revlimid® dans le cadre d'un essai clinique, mais cela a eu pour seuls effets de réduire mes numérations sanguines et de me causer des furoncles et des démangeaisons au cuir chevelu. J'ai aussi pris Vidaza®; il a agi pendant cinq mois, mais en moins d'un an, j'avais retrouvé ma fréquence d'une transfusion tous les quatorze jours.

La famille a donc pris l'avion pour Seattle au début de 2006. Nous avons visité le Centre d'oncologie Fred Hutchinson, qui était, selon les échos que j'en avais eus, l'endroit indiqué pour des greffes provenant de donneurs compatibles non apparentés. Le médecin nous a installés, mon épouse, ma fille de 23 ans et moi, autour d'une table ronde dans une petite pièce sans fenêtre et il nous a dit qu'il me restait six mois à vivre à moins que je me soumette à une greffe de moelle osseuse venant d'un donneur non apparenté et incompatible. Mes chances de survivre cinq ans étaient de 65 %. J'ai donc remis ma démission et ma femme et moi avons loué un appartement à Seattle. Mais avant, j'ai entrepris un voyage de dix jours à motocyclette en Europe où j'ai eu la bonne idée de me fracturer une cheville lorsque ma Ducati a dérapé sur le gravier pour atterrir sur mon pied. Cela retardait la greffe: les os ne guérissent pas aussi bien quand le système immunitaire est affaibli en prévision d'une GMO (greffe de moelle osseuse). Mais une fois la cheville rétablie, j'ai décidé de renoncer à l'intervention avec un donneur non apparenté et incompatible. C'était il y a six ans et demi. J'ai récemment demandé qu'on relance la recherche d'un donneur et je viens d'apprendre qu'avec les donneurs disponibles et les milliards d'anticorps que j'ai développés par suite de mes innombrables transfusions, je ne pouvais envisager la GMO qu'en dernier ressort. Donc, je continue les transfusions.

En date de 2009, la fréquence des transfusions avait augmenté à une fois tous les dix jours. J'avais du mal à soutenir la cadence au travail, à cause de mes absences pour les analyses sanguines, les mauvais jours et les transfusions. J'ai donc diminué ma charge de travail de 80 % et j'ai commencé à m'impliquer davantage dans la MDS Foundation et j'ai passé beaucoup de temps à marcher avec mon chien. Entre temps, les anticorps se sont mis à détruire le sang transfusé plus rapidement et à m'empêcher de tirer de cette forme de traitement le même degré d'énergie qu'avant. Mais, la vie continue et rien ne semble vouloir se terminer pour l'instant.

Conscient que le SMD se manifeste sous différentes formes et à différentes intensités, j'ai vécu en observant les règles suivantes:

- Je ne m'en fais pas pour l'avenir. Je m'en ferai en temps et lieu.
- Je fais tout ce que je peux pour rester informé et faire des choix intelligents.
- Je ne me fais pas happer par un scénario imaginaire dans lequel je mène un combat dont je contrôle l'issue, positive ou négative. Là où je me trouve, rien n'est de mon ressort.
- Et si les choses tournent mal, ce n'est pas parce que je ne me suis pas assez battu, ce n'est pas parce que ma foi a faibli ni parce qu'on n'a pas assez prié pour moi.

Bob Weinberg





témoignage vidéo

Bonjour, je m'appelle William Pearson. J'ai 76 ans et je vis à Hamilton, en Ontario, au Canada. Je suis né et j'ai grandi à Nelson en Colombie-Britannique. Après mes études, j'ai joué au hockey pendant deux ans et ensuite, j'ai travaillé dans le domaine de la métallurgie pendant 45 ans. Après ma retraite, je suis devenu consultant et mes projets m'ont alors amené un peu partout au Canada, ainsi qu'en Allemagne et en Pologne. Lorsque j'étais à Cracovie en Pologne, le bureau était à une distance de marche de l'hôtel et, à partir du bureau, une navette nous amenait vers les différentes usines du secteur. Une semaine après le début du projet, ma marche jusqu'au bureau a commencé à être laborieuse. En fait, elle est devenue si difficile que j'ai commencé à prendre le taxi et même marcher d'un département à l'autre dans l'usine est devenu plus astreignant. Gravier un escalier jusqu'aux plateformes de service me semblait une montagne; je devais m'arrêter toutes les cinq ou six marches avant de pouvoir continuer.

À mon retour au Canada, je me suis précipité chez mon médecin de famille qui a demandé des analyses sanguines. Elle m'a appelé après avoir reçu les résultats. Mon hémoglobine était à 88 mg/dL (ou 8,8 g/dL), bien en-dessous de la normale. Elle m'a envoyé en hématologie. Heureusement, je ne voyais pas un étranger, j'avais déjà vu cette hématologue dans le passé pour d'autres problèmes. Je me sens plus à l'aise si je connais déjà le médecin que je m'apprête à voir. L'hématologue a repris les analyses sanguines et à la visite suivante, j'ai subi une ponction et biopsie de moelle osseuse (janvier 2003: Hb 81 [8,1]).

Lors d'un rendez-vous de suivi six semaines plus tard, elle m'a annoncé que mes résultats n'étaient pas très bons. Elle devait aussi faire une autre analyse de la moelle osseuse pour obtenir plus de renseignements et faire une comparaison. Je blaguais encore en lui disant qu'elle avait croché exprès l'aiguille lors de la seconde aspiration de moelle osseuse, mais selon elle, ma structure osseuse était très dure et cela n'avait rien à voir avec elle. À ce moment, j'ai commencé à recevoir des transfusions de culots globulaires pour maintenir mon hémoglobine (19 mars 2003).

À la visite suivante, elle m'a confirmé que les résultats des deux analyses de moelle osseuse indiquaient un diagnostic de SMD. Je ne me rappelle pas avoir ressenti de la peur ou de l'inquiétude, mais je me suis demandé ce qui m'attendait. Nous avons mentionné la possibilité d'une greffe de cellules souches. Selon ce scénario, ma sœur serait la candidate la plus appropriée. J'ai appelé ma sœur Jane pour en discuter avec elle. Elle vit sur la côte Ouest à environ cinq heures d'avion. Elle m'a répondu: « Quand veux-tu que j'arrive? ». Une greffe de moelle osseuse demande du temps, de la planification et les patients ne sont pas tous en mesure de recevoir une greffe de moelle osseuse allogénique. L'âge que j'avais à l'époque, soit plus de 60 ans, entrait en ligne de compte. C'est juste au-delà de l'âge recommandé pour ce type de greffe. Aussi, le médecin suggérait un médicament, Danazol®, qui pourrait aider ma moelle osseuse à mieux fonctionner. Selon son expérience, le médicament agissait chez environ 5 % de ses patients.

Après un certain temps, le médicament a cessé d'agir et je recevais deux unités de sang toutes les deux semaines (entre avril 2007 et janvier 2008). J'ai conséquemment développé une surcharge ferrique due à toutes ces transfusions. On m'a transféré dans un grand centre oncologique de Toronto, à environ 60 kilomètres. Cet hôpital, l'Hôpital Princess Margaret, est l'un des centres de cancérologie les plus réputés au monde. Mon premier rendez-vous a été fixé pour le début septembre 2007. J'y allais dans l'espoir de pouvoir participer à un essai clinique sur de nouveaux traitements pour le SMD. Après une autre analyse de moelle osseuse et plusieurs visites, on m'a dit que je ne répondais pas aux critères d'admissibilité aux essais cliniques sur des médicaments.

En décembre 2007, l'hématologue m'a suggéré d'essayer un médicament appelé cyclosporine (un immunosuppresseur). Après avoir lu tout ce qui concernait le médicament, j'ai cru qu'il n'était pas pour moi. Grave erreur de ma part. Mon épouse et moi avons appris à connaître ce médecin très bien puisque nous l'avons rencontrée toutes les deux semaines pendant trois mois. Nous l'admirions et la respections beaucoup. Lorsqu'elle a affirmé qu'il s'agissait du meilleur traitement pour moi et que nous devions y réfléchir, nous avons répondu « oui » sans hésiter. Les résultats ont été très positifs. Lors d'un de mes rendez-vous, le médecin et

Janet (mon épouse) ont prononcé le mot « phlébotomie » à l'unisson. J'avais un total de 3, ce qui situait ma surcharge ferrique au-delà de la zone critique.

Aujourd'hui, je prends encore de la cyclosporine et cela maintient mon hémoglobine aux alentours de 10,5 g/dL, mais nous ne pouvons pas en augmenter la dose parce qu'elle a déjà touché ma fonction rénale.

Quelle est ma qualité de vie?

En résumé, dans l'ensemble, ma qualité de vie a peu changé. Certains jours sont pires que d'autres. Par exemple, certains jours, je peux parcourir un kilomètre sans m'arrêter, alors qu'à d'autres moments, je dois faire une pause tous les cinq mètres. Soulever des objets m'est difficile. Les tâches domestiques m'épuisent, ce qui me sert d'excuse, mais je n'en abuse pas puisque Janet sait que c'est une piètre excuse.

Nous voyageons encore. En 2010, nous sommes allés en Écosse pour des vacances, alors que le Symposium international de la MDS Foundation s'y déroulait. Janet et moi avons présenté un exposé dans le cadre d'un forum sur le SMD à l'intention des patients et de leurs aidants qui a réuni des gens de tous les pays d'Europe. Nous sommes allés sur la Côte Ouest du Canada tous les ans. Je continue de jouer au golf en me déplaçant avec une voiturette. Le club de golf me permet de placer un fanion sur ma voiturette pour que je me rapproche le plus possible de ma balle, à l'exclusion des verts.

Quelles sont mes craintes?

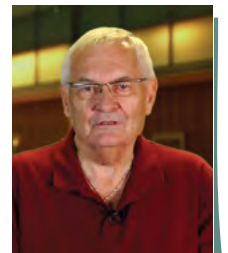
Mon SMD soulève bien sûr des appréhensions, mais je ne m'apitoie pas sur mon sort et je n'ai pas réellement peur. Je deviens juste un peu nerveux après mes prises de sang, en attendant les résultats.

Peu de temps après avoir reçu mon diagnostic, j'ai adhéré à un programme de pair aidant de la Leukemia and Lymphoma Society (LLS) (jusqu'à il y a environ un an). La LLS communiquait avec moi lorsqu'une personne souhaitait parler avec quelqu'un qui était atteint de SMD. Étant donné que mon nom était le seul dans la base de données, on me mettait en contact avec la personne pour que nous parlions du SMD. Quatre-vingt-quinze pour cent des personnes provenaient des États-Unis. Je crois que le fait de me sentir utile m'a aidé à calmer mes anxiétés.

Je constate un changement majeur depuis un an et demi. Le SMD est pour ainsi dire sorti du placard. Un exemple important est Robin Roberts, animateur à l'émission Good Morning America du réseau ABC. Robin en a fait l'annonce pendant son émission et on a pu lire plusieurs histoires au sujet du SMD dans les journaux du pays. ABC continue de faire des mises à jour.

Quels sont mes espoirs pour l'avenir? Je ne sais pas ce que devrait ressentir un homme de 76 ans. Qualité de vie et espérance de vie sont mes espoirs les plus grands et je me contenterais du statu quo. J'aimerais qu'au cours de ma vie, la recherche en arrive à trouver un traitement pour les SMD de tous les types.

William Pearson



Vivre avec le SMD



témoignage vidéo

Je m'appelle Janet Pearson et mon mari, William, est atteint de syndrome myélo-dysplasique.

Le diagnostic est tombé il y a dix ans (la description et le pronostic du SMD sur Internet à l'époque éveillaient plus de craintes que d'espoir). En 2002, William était en Pologne pour deux semaines et à son retour, il a vu son médecin de famille. Les analyses sanguines suivant cette visite donnaient une hémoglobine à 88 mg/dL (8,8 g/dL). Son médecin l'a envoyé consulter une hématologue.

Il a subi une ponction de moelle osseuse en janvier 2003. Son hémoglobine à ce moment était à 81 mg/dL (8,1 g/dL). Nous avons parlé avec l'hématologue d'une greffe de moelle osseuse, mais à son âge, ce n'était pas idéal.

Le médecin a prescrit à William un médicament qui a permis de maintenir son hémoglobine et notre qualité de vie pendant environ quatre ans et demi.

Notre vie a continué, comme si rien ne menaçait notre souhait de vieillir ensemble. Nous avons joué au golf ensemble, pris des vacances et vu nos amis. William s'est rendu en Europe pour des voyages d'affaires et sa vie ne semblait pas bouleversée. Je travaillais, je jouais du piano, je faisais de la peinture et du yoga. Bref, je profitais des activités qui faisaient partie d'un mode de vie relaxant.

En avril 2007, nos vies ont changé après une visite à l'hôpital à quatre heures du matin. L'hémoglobine de William était à 80 mg/dL. Il a donc dû subir une autre ponction de moelle osseuse, recevoir des transfusions et se soumettre à d'autres tests diagnostiques pour vérifier quelque autre source possible de saignement.

Les tests diagnostiques se sont révélés normaux. L'analyse de l'échantillon de moelle osseuse a confirmé que le SMD avait évolué vers un stade plus critique. Un traitement plus agressif s'imposait. Les transfusions ont été maintenues toutes les deux semaines et nous avons pris rendez-vous dans un grand centre oncologique en septembre 2007. Au premier rendez-vous, il a dû se soumettre à une autre ponction de moelle osseuse. Après cela, les rendez-vous ont été hebdomadaires puis bihebdomadaires. Les résultats d'analyses de moelle osseuse confirmaient que ce type de SMD ne cadrait pas avec les critères d'admissibilité à des études de recherche sur des médicaments qui étaient alors en cours. On nous a transmis cette information lors d'un rendez-vous, en octobre. À cette époque, l'hématologue a mentionné que la cyclosporine serait une option, mais il allait falloir obtenir l'autorisation du gouvernement pour la couverture d'assurance. Le traitement a été approuvé et William a commencé à prendre la cyclosporine en janvier 2008. Les effets secondaires étaient effrayants.

Ça a été une période difficile pour moi. Du travail, j'appelais à la maison plusieurs fois par jour pour voir comment il allait. S'il ne répondait pas, j'appelais une voisine pour qu'elle puisse me rassurer et qu'elle confirme que tout allait bien. Souvent, elle le trouvait endormi dans un fauteuil de jardin. Il était si pâle qu'elle vérifiait s'il respirait toujours. Elle l'appelait pour le réveiller. Tout le monde voyait bien que William avait changé.

Lorsque William a présenté une surcharge ferrique, j'ai parlé à une diététiste et je lui ai demandé quel type de régime et d'aliments il fallait éviter. Elle a recommandé du thé et, avec les viandes rouges, toujours un verre de vin cabernet sauvignon, ni merlot ni shiraz, mais bien cabernet sauvignon. Lorsque l'hémoglobine de William a atteint 140 (14,0), j'ai pensé à la phlébotomie et nous en avons parlé avec lui, l'hématologue et moi. Il a subi trois séances de phlébotomie pour améliorer sa surcharge ferrique. Je crois aussi à l'importance de rester en mouvement, de sortir, faire une promenade de dix minutes peut-être trois fois par jour, mais de bouger. Lorsque sa créatinine a commencé à augmenter, il est devenu important qu'il boive plus. Je continue de le lui rappeler souvent.

Je ne suis pas là pour raconter son histoire, et pourtant c'est ce que je fais. Le SMD a accaparé une grande part de ma vie. Comment cela m'a-t-il affectée? Je travaille et je m'en fais. Parfois, la peur m'envahit. La peur d'être seule, la peur de ce qu'il traverse, la peur de l'inconnu. Je sais que je ne peux rien y faire. C'est difficile de partager cette crainte avec des gens qui ne comprennent pas le SMD. Vous voyez, de l'extérieur, je projette l'image d'une femme en contrôle. Je semble calme, mais à l'intérieur, je m'en fais toujours. On me dit que je suis une personne patiente et bonne et je me fais un réel souci pour lui.

J'ai l'impression que la peur m'a transformée. Autrefois, nous pouvions marcher sans fin en jasant et en riant. Nous marchions d'un bon pas, par tous les temps, sous le soleil, la pluie ou la neige. Nous profitions des belles soirées d'été à l'extérieur, mais le virus du Nil occidental nous fait peur maintenant, à William et à moi. À présent, nous marchons d'un pas lent ou modéré. Selon la journée, la distance peut être très courte. Dimanche soir dernier, William m'a invitée à aller marcher: « Allons au lac ». Nous avons marché deux kilomètres. C'était une merveilleuse soirée. Le lendemain soir, c'était différent. Il était hors de question de marcher et il était persuadé que c'était la promenade de la veille qui était en cause. Alors, vous voyez? Je saisis les moments spontanés et spéciaux.

L'an dernier en septembre (le temps de l'année où nous avons l'habitude de prendre nos vacances), nous n'avons pas voyagé. William a une vieille blessure de sport qui s'est réveillée et elle diminue sa mobilité. Il lui fallait du repos, de la glace et de la chaleur. Pendant ce temps, j'ai marché avec ma voisine entre sept heures et huit heures le matin, du lundi au vendredi, pendant trois semaines et je me suis très bien sentie. Nous marchons encore les jours où je suis en congé. Ce temps m'appartient.

J'ai écrit des lettres à William au sujet de mes craintes et de ma frustration, mais je ne les lui ai jamais données.

J'aime ma vie avec William. Je profite des moments que nous partageons ensemble. J'apprécie les petites choses, comme cuisiner ensemble, faire des courses, de courtes promenades et les vacances que nous pouvons prendre.

Je travaille à un poste administratif dans une unité de soins intensifs. Étant donné qu'il s'agit d'une unité hospitalière où les enjeux sont élevés, je constate que le stress quotidien avec les patients et leur famille peut me rendre plus nerveuse.

En tant que proche aidant, on n'est pas à l'abri de la peur, de la frustration et de l'incertitude, et il est important de prendre soin de soi. Sachez vous réserver du temps. J'aime lire, dîner avec des amis, tricoter, marcher et j'ai commencé une courtepoinette. En novembre, je vais prendre un cours de yoga avec une amie.

Janet Pearson





témoignage vidéo

Bonjour, je suis Ryan Szanto. J'ai 74 ans et je suis atteint de SMD depuis 15 ans. Je souhaite ici vous parler de mon expérience avec le SMD. En tant que survivant d'un SMD, je souhaite que mon témoignage et ma longévité vous redonnent espoir et vous encouragent.

En juillet 1996, lors d'un examen médical de routine, j'ai reçu un diagnostic d'anémie. J'étais un grand adepte de plein air et je me sentais très bien, donc je n'ai rien fait au sujet de mon anémie. L'année suivante, lors d'un autre examen de routine, le médecin a écrit en rouge les mots « anémie significative » et les a encerclés. Il m'a recommandé de voir mon médecin de famille, ce que j'ai fait en août 1997. Il m'a fait subir toute une batterie de tests et d'analyses sanguines sur une période de cinq semaines. Ça ne semblait pas évident de trouver ce qui clochait et mon médecin m'a envoyé consulter un hémato-oncologue.

J'ai subi une ponction de moelle osseuse; les résultats ont confirmé que mon anémie était causée par un SMD. Pendant les 15 mois suivants, ce médecin m'a fait revenir toutes les semaines pour une formule sanguine complète. En janvier 1999, j'ai commencé à recevoir des injections de Procrit, à raison de 30 000 unités une fois par semaine. Au cours des cinq années et neuf mois suivants, les injections de Procrit ont augmenté graduellement de 30 000 à 80 000 unités pour maintenir mon hémoglobine à des taux acceptables. En décembre 2005, je suis passé d'une dose hebdomadaire de Procrit à une dose bihebdomadaire d'Aranesp® en injections. Ça a été une bénédiction. La posologie d'Aranesp® a débuté à 300 mcg pendant 28 injections et se poursuit à présent à 400 mcg. En date d'octobre 2012, j'ai reçu en tout 176 injections d'Aranesp®.

En juin 2001, j'ai commencé à recevoir des transfusions sanguines. En date d'octobre 2012, j'avais reçu 377 unités de sang. En juin 2004, je présentais déjà une surcharge ferrique. Ma ferritine se situait à 2 990 à cause de mes nombreuses transfusions sanguines. J'ai donc commencé à prendre un chélateur du fer, un médicament appelé Desferal®, qu'on administre au moyen d'une pompe à perfusion, 12 heures par jour, cinq jours par semaine. J'ai continué ce traitement pendant un an et demi.

À l'automne 2005, la MDS Foundation m'a informé de l'existence d'un nouveau médicament oral, Exjade®, utilisé pour le traitement de la surcharge ferrique. Exjade® faisait l'objet d'une demande d'approbation auprès de la FDA, à Washington, D.C., et on m'a demandé de témoigner et d'expliquer pourquoi il devait être approuvé. J'étais enchanté de le faire. Je me réjouissais à l'idée de me débarrasser de ma pompe. Je me suis rendu avec 14 autres patients qui avaient tous développé une surcharge ferrique par suite de transfusions chroniques pour traiter le SMD, l'anémie aplasique ou la thalassémie. Heureusement, le médicament a été approuvé. J'ai commencé à prendre Exjade® à raison de 1 500 mg par jour en janvier 2006. Hourra! Une autre bénédiction! Chaque matin, je fais dissoudre mes comprimés Exjade® dans de l'eau et je bois la solution. Je prends Exjade® depuis tout ce temps, sauf une période de six mois où mon taux de ferritine avait suffisamment diminué (312) pour que je puisse m'en passer. Les posologies ont varié depuis sept ans. Actuellement, je prends 1 000 mg par jour.

En septembre 2004, le Dr Alan List du Centre de recherche en oncologie Moffitt a cessé mes injections de Procrit pour que mon système puisse l'éliminer en vue d'un essai clinique sur un médicament, le CC5013 (Revlimid®). J'avais pour diagnostic un SMD de type anémie réfractaire avec sidérolastes en couronne (ou ARSC). Le médicament n'a pas fonctionné pour moi. Il a fonctionné pour les patients qui présentaient une anomalie du chromosome 5q-. Pour ces patients, les résultats ont été saisissants. La plupart des patients porteurs de l'anomalie 5q- ont présenté une réduction significative de leurs besoins en transfusions. Certains n'en avaient plus du tout besoin. À mi-chemin de l'étude, il me semblait qu'il ne fonctionnait pas pour moi, mais j'ai continué et j'ai mené l'essai à terme, parce que je savais que les données que la recherche recueillait sur moi pourraient éventuellement profiter à d'autres patients atteints de SMD.

Ces 15 dernières années, j'ai subi sept biopsies de moelle osseuse. Le SMD peut appartenir à une catégorie de risque élevé ou faible. J'appartiens à la catégorie de risque faible et mes biopsies n'ont pas changé depuis 15 ans.

Pendant les trois premières années, il était impossible de rencontrer un non-spécialiste du SMD qui sache quoi que ce soit à propos de la maladie. Aussi, à cette époque, les recherches sur le SMD étaient minimales, voire inexistantes. Les premières recherches ont porté sur des patients exposés à un risque élevé et je suis entièrement d'accord, puisque le risque est plus grand de souffrir éventuellement de leucémie. À l'heure actuelle, la recherche porte sur les patients exposés à un risque élevé et faible. La bonne nouvelle, c'est qu'il existe maintenant plus d'une centaine de centres de recherche sur le SMD dans le monde.

Quand j'ai reçu mon diagnostic d'anémie, puis de SMD, j'étais dans le déni. Cela s'est poursuivi pendant un an et demi. À mesure que le temps passait, je me suis rendu compte que très peu de gens connaissaient quoique ce soit au sujet de la maladie. J'ai donc décidé de me renseigner le plus possible et j'ai monté un dossier détaillé sur ce qui se faisait. Pour moi, le corps est un temple sacré et j'avais la responsabilité d'en prendre soin. C'est à ce moment que mon déni s'est transformé en attitude positive. J'ai commencé par lire tout ce que je pouvais trouver, chercher sur Internet, parler à mon médecin et participer à des forums réunissant des patients atteints de SMD organisés par la MDS Foundation. En fait, je continue d'essayer d'assister à ces forums une ou deux fois par année. Ce sont des événements très riches: on y entend des médecins et des infirmières qui sont des spécialistes du domaine, de même que des patients qui partagent leurs expériences, posent des questions et discutent.

J'ai aussi tourné quelques vidéos pour le fabricant du médicament Exjade®. C'est ce qui m'a fait réaliser à quel point j'apprécie toute la peine qu'on se donne pour trouver de meilleures façons de corriger la surcharge ferrique.

Je me suis inscrit à un « registre national de données sur le SMD » en juin 2008. Il s'agit d'un registre qui amasse des renseignements détaillés sur les patients atteints de SMD à l'échelle du pays. L'objectif du registre est d'aider les patients atteints de SMD en établissant les similitudes et les différences entre les patients (ce qui fonctionne et ce qui ne fonctionne pas).

En plus d'apprendre tout ce que je peux sur le SMD à partir de sources diverses et de m'impliquer, je mets ma foi à contribution, je prie pour les autres patients et je les encourage. Chaque fois que je sors de mon véhicule pour me rendre au centre d'oncologie ou de perfusion, je prie le Seigneur de mettre sur mon chemin quelqu'un qui a besoin que je l'encourage, que je lui parle ou que je prie pour lui. Il répond à ma demande à chaque fois. Je remercie aussi les infirmières qui m'aident et si elles sentent le besoin de prier, je prie avec elles. Lorsque je vais à la banque de sang, je me présente aux donateurs et je les remercie de me garder en vie.

Je crois que c'est cet engagement qui me motive. Mon attitude positive et ma foi sont chaque jour plus fortes.

En résumé, je dirais renseignez-vous le plus possible au sujet du SMD, restez à jour en ce qui concerne la recherche, gardez une attitude positive, soyez motivé et participez, particulièrement aux forums de patients. Posez vos questions aux médecins et aux infirmières et surtout, laissez Dieu vous guider.

Oui, c'est vrai, je n'ai pas été physiquement guéri, mais Dieu m'a guéri spirituellement et mon esprit vivra pour l'éternité. Je remercie la MDS Foundation de m'avoir permis de partager ces quelques minutes avec vous. Que Dieu vous garde maintenant et à jamais.

Ryan Szanto



LA MDS FOUNDATION


La MDS Foundation est un organisme international subventionné par le secteur public voué au service des patients atteints de SMD, de leurs aidants et des professionnels qui travaillent à améliorer leur vie avec le SMD. La MDS Foundation propose plusieurs ressources en appui au programme Les bases de l'espoir.

collaborateurs à la rédaction

Lea Harrison
Audrey Hassan
Sue Hogan
Tracey Iraca
Sandra Kurtin
Deborah Murray
Bob Weinberg

LA MDS FOUNDATION

| | |
|--|----|
| À propos de la MDS Foundation | 3 |
| Le personnel de la MDS Foundation | 4 |
| Le conseil d'administration de la MDS Foundation | 5 |
| Comité international d'excellence en soins infirmiers de la MDS Foundation | 6 |
| Services aux patients de la MDS Foundation | 7 |
| Centres d'excellence en matière de SMD | 8 |
| Ressources en ligne | 13 |
| Créez votre propre groupe d'entraide | 14 |
| Don planifié | 17 |



À propos de la MDS Foundation

La Myelodysplastic Syndromes Foundation a été mise sur pied par un groupe international de médecins et chercheurs pour promouvoir un échange continu de renseignements sur le SMD.

Avant la mise sur pied de la MDS Foundation, il n'existait aucun groupe formel consacré aux SMD. Depuis sa mise sur pied, nous avons organisé 11 symposiums internationaux en Autriche, au Royaume-Uni, aux États-Unis, en Espagne, en République tchèque, en Suède, en France, au Japon, en Italie, en Grèce et en Écosse. Le 12^e Symposium international a eu lieu à Berlin en Allemagne, du 8 au 11 mai 2013.

L'une des principales activités de la MDS Foundation a été la mise sur pied d'un réseau international d'information. Ce réseau oriente les patients vers des centres d'excellence, fournit les coordonnées des essais cliniques accessibles, assure le partage d'information sur les recherches récentes et les options thérapeutiques entre les médecins et fournit un supplément d'information aux médecins, au personnel infirmier, aux pharmaciens et aux patients.

En réponse aux besoins exprimés par les patients, les familles et les professionnels de la santé, nous proposons des groupes de défense des intérêts des patients, un financement de la recherche et de la formation professionnelle pour le corps médical, le personnel infirmier, les pharmaciens et autres professionnels de la santé.

La MDS Foundation est un organisme subventionné à même les fonds publics.



Pour communiquer avec nous

1 800 MDS-0839 (aux États-Unis seulement)
1 609 298-1035 (à l'extérieur des États-Unis)
1 609 298-0590 télécopieur

ou à l'adresse

The MDS Foundation, Inc.
4573 South Broad St., Suite 150
Yardville, New Jersey 08620

Président

Stephen D. Nimer, M.D.

*Sylvester Comprehensive Cancer Center
Miami, Floride*

Comité de direction

Avec le président, ce comité supervise le travail de la MDS Foundation, y compris l'élaboration des programmes scientifiques et des initiatives de formation à l'intention des professionnels de la santé.

Pierre Fenaux, M.D., Ph.D.

*Hôpital Saint-Louis
Paris, France*

Peter L. Greenberg, M.D.

*Faculté de médecine de l'Université Stanford
Stanford, Californie*

Alan F. List, M.D.

*Centre d'oncologie H. Lee Moffitt
Tampa, Floride*

Sandra Kurtin, inf., MS, AOCN, ANP-C

*Centre d'oncologie de l'Université de l'Arizona
Tucson, Arizona*

Directrice de l'exploitation

Susan Hogan

Susan travaille à la MDS Foundation depuis onze ans. Elle a débuté comme directrice administrative. Avant d'arriver à la MDS Foundation, Susan avait cumulé 15 ans d'expérience dans l'industrie pharmaceutique, dans les secteurs des affaires médicales et scientifiques, des finances et de l'analyse de marché. À la MDS Foundation, Susan supervise la conduite des affaires, y compris les finances, le personnel et les projets le concernant. Elle collabore avec les membres du conseil d'administration et du comité de direction de la MDS Foundation à la planification stratégique afin de répondre aux besoins des patients atteints de SMD et d'informer les professionnels de la santé qui travaillent dans ce domaine.

Directrice des subventions

Tracey Iraca

Tracey est arrivée à la MDS Foundation en 2004 à temps partiel comme coordonnatrice auprès des patients pour promouvoir les programmes éducatifs à l'intention des patients. À l'heure actuelle, Tracey gère le programme des subventions corporatives et est responsable des relations avec les entreprises et du développement des affaires. Elle coordonne aussi les symposiums scientifiques et agit à titre d'agent de liaison pour le Conseil international d'excellence en soins infirmiers de la MDS Foundation et pour le groupe de travail international pour le pronostic du SMD (IWG-PM), de même qu'à titre de principale personne contact pour le comité de formation des bénévoles.

Coordonnatrice à la production

Janice Butchko

Janice s'est jointe à la MDS Foundation en 2008 et elle est responsable de la coordination, du contrôle de la qualité et de la production de toute la documentation imprimée et électronique de la MDS Foundation. Janice gère aussi les envois en vue des présentations. Elle coordonne les expéditions, elle est responsable des demandes de renseignements des patients et du renouvellement des adhésions, en plus d'assurer la tenue de livres.

Relations avec les patients

Audrey Ann Hassan

Audrey s'est jointe à la MDS Foundation il y a onze ans comme agent de liaison avec les patients. Elle est arrivée à la MDS Foundation après plus de 14 ans d'expérience au service des patients au Service des affaires médicales d'une grande société pharmaceutique. Son rôle principal est de fournir un soutien international aux patients, aux familles et aux aidants touchés par le SMD. En personne, par téléphone ou par courriel, Audrey répond aux questions au sujet du SMD en fournissant entre autres des renseignements sur les options thérapeutiques, les essais cliniques et le soutien financier, en plus d'offrir aux patients une référence prioritaire vers n'importe lequel des centres d'excellence en matière de SMD dans le monde.

Coordonnatrice auprès des patients

Deborah (Dee) Murray

Dee s'est jointe à la MDS Foundation en 2005 et travaille à sensibiliser davantage les. Un aspect important de cette tâche est la coordination et la gestion des réunions et forums de la MDS Foundation à l'intention des patients. Ces réunions regroupent des patients, des aidants et des proches, partout aux États-Unis. Les forums ont pour but de renseigner les patients et de leur offrir une occasion de partager entre eux leur expérience des syndromes myélodysplasiques. En plus de cette responsabilité, Dee gère la base de données des donateurs de la MDS Foundation et s'assure de transmettre les remerciements en temps voulu.

Chef de projet

Lea Harrison

Lea est associée à la MDS Foundation depuis 2001. À l'heure actuelle, elle gère tous les aspects des différents programmes de formation médicale continue, des symposiums et des réunions d'information pour les professionnels de la santé. Elle est aussi responsable des projets éducatifs pour les patients, comme la coordination et la traduction de notre ressource Building Blocks of Hope® (Les bases de l'espoir) destinée aux patients et à leurs aidants.

Le conseil d'administration de la MDS Foundation

Stephen D. Nimer, M.D.

Président-The M.D.S Foundation, Inc.
Directeur, Centre intégré d'oncologie Sylvester
Professeur de médecine, de biochimie et de biologie moléculaire
Faculté de médecine Miller de l'Université de Miami
Miami, Floride, États-Unis

John M. Bennett, M.D.

Professeur émérite de médecine
Médecine de laboratoire et anatomopathologie
Centre médical de l'Université de Rochester
Rochester, New York, États-Unis

Mario Cazzola, M.D.

Professeur d'hématologie
Faculté de médecine de l'Université de Pavie
Chef, Département d'hématologie
M.D.S Foundation IRCCS-Polyclinique San Matteo
Pavie, Italie

Erin P. Demakos, inf., CCRN

Directrice administrative
Centre des myélodysplasies
Faculté de médecine Icahn au Mont Sinai
New York, New York, États-Unis

Theo J.M. de Witte, M.D., Ph.D.

Professeur d'hématologie
Centre médical Nijmegen de l'Université Radboud
Centre de biologie moléculaire Nijmegen
Nijmegen, Pays-Bas

Benjamin Ebert, M.D., Ph.D.

Professeur agrégé de médecine
Brigham and Women's Hospital
Faculté de médecine de l'Université Harvard
Boston, Massachusetts, États-Unis

Pierre Fenaux, M.D., Ph.D.

Professeur d'hématologie
Hôpital Saint Louis, Université Paris VII
Paris, France

Peter L. Greenberg, M.D.

Professeur de médecine/hématologie
Faculté de médecine de l'Université Stanford
Stanford, Californie, États-Unis

Eva Hellström-Lindberg, M.D., Ph.D.

Professeure agrégée d'hématologie
Institut Karolinska, Hôpital universitaire Huddinge Karolinska
Stockholm, Suède

Sandra E. Kurtin, inf., MS, AOCN, ANP-C

Infirmière praticienne en hémato-oncologie
Centre d'oncologie de l'Université de l'Arizona
Professeure-adjointe de clinique, Sciences infirmières
Professeure-adjointe de médecine clinique
Université de l'Arizona
Tucson, Arizona, États-Unis

Alan F. List, M.D.

Président et chef de la direction
Chaire Frank et Carol Morsani
Centre d'oncologie et Institut de recherche H. Lee Moffitt
Tampa, Floride, États-Unis

Silvia M. M. Magalhães, M.D., Ph.D.

Professeure de médecine clinique et d'hématologie
Université fédérale de Ceará
Hôpital universitaire Walter Cantídio
Ceará, Brésil

Yasushi Miyazaki, M.D.

Chef, Département d'hématologie
École supérieure de sciences biomédicales de l'Université de Nagasaki
Institut des maladies liées à la bombe atomique
Nagasaki, Japon

Ghulam J. Mufti, M.D., FRCP, FRCPath

Professeur d'hémato-oncologie et
chef du Département d'hématologie
King's College London et King's College Hospital
Londres, Royaume-Uni

Charlotte M. Niemeyer, M.D.

Professeure de pédiatrie
Hôpital universitaire pédiatrique
Fribourg, Allemagne

*Membre émérite:***Franz Schmalzl, M.D.**

Innsbruck, Autriche

*Directeurs:***Roberta Smith, CPA**

Trésorière

Susan Hogan

Directrice à l'exploitation

Tracey Iraca

Secrétaire

Membres du Conseil international d'excellence en soins infirmiers de la MDS Foundation

Erik Aerts, inf.

Infirmier gestionnaire
Hôpital universitaire de Zurich
Médecine interne-oncologie
Unité et polyclinique de transplantation de cellules souches
Hématologie/aphérèse/transplantation de cellules souches
Zurich, Suisse

Angelika Bitter, inf.

Clinique universitaire Carl Gustav Carus
Infirmière coordonnatrice des études
Hôpital universitaire de Dresde
Dresde, Allemagne

Claudia Boglione, inf.

Infirmière spécialisée en greffe de cellules souches
Mentor
Hôpital universitaire Careggi
Florence, Italie

Núria Borràs, inf.

Infirmière en hématologie-oncologie
Clinique de l'Hôpital ICMHO
Barcelone, Espagne

Karen Campbell, inf.

Chargée de cours sénior, chaire Macmillan
Chef du programme de M.Sc. en pratique avancée et programme de gestion flexible
Assistante d'enseignement principale
Université Napier d'Édimbourg
Édimbourg, Écosse, Royaume-Uni

Hwang Chung Cheng, inf., M.Sc. inf. soins avancés (oncologie)

Infirmière stagiaire, soins avancés hématologiques
Hôpital général de Singapour
Singapour

Nicole Crisp, inf., B.Sc. inf., M.Sc. inf., IP-adultes

Infirmière praticienne, Hématologie
Hôpital de l'Université de l'Alberta
Edmonton, Alberta, Canada

Erin Demakos, inf., CCRN

Directrice administrative
Centre pour les myélodysplasies
Faculté de médecine Icahn, Mont Sinai
New York, New York, États-Unis

Rebecca Dring, inf., études supérieures en soins infirmiers oncologiques

Leukaemia Foundation
Coordonnatrice nationales pour les SMD
Hôpital Royal Melbourne
Infirmière clinicienne spécialisée
Melbourne, Australie

Corien Eeltink, inf., M.A. ANP

Infirmière praticienne
Département d'hématologie
Centre médical de l'Université VU
Amsterdam, Pays-Bas

Lenn Fechter, inf.

Infirmière coordonnatrice,
Département d'hématologie
Hôpital et cliniques Stanford
Stanford, Californie, États-Unis

Janet Hayden, inf., B.Sc. (sp.), MPH

Infirmière clinicienne spécialisée en maladies myéloïdes
Hématologie
Kings College NHS Foundation Trust
Londres, Royaume-Uni

Miki Iizuka, inf.

Hôpital général Shinyurigaoka
Kanagawa, Japon

Jacqueline Jagger, BA, RN

Haematology Cancer Nurse Coordinator
Gosford Hospital, Cancer Day Unit
Gosford, Australie

Christiane Kahle

Infirmière coordonnatrice principale des études
Hôpital universitaire de Dresde
Dresde, Allemagne

Emily A. Knight, inf., B.Sc. inf., OCN

Infirmière coordonnatrice, Hématologie
Clinique Mayo
Scottsdale, Arizona, États-Unis

Sandra E. Kurtin, inf., MS, AOCN, ANP-C

Infirmière praticienne, hématologie-oncologie
Centre d'oncologie de l'Université de l'Arizona
Professeure adjointe de soins infirmiers cliniques
Tucson, Arizona, États-Unis

Petra Lindroos Kolqvist, inf.

Chef d'équipe, Anémie-leucémie
Département d'hématologie et d'hémostase
Hôpital universitaire Sahlgrenska
Göteborg, Suède

Arno Mank, inf., Ph.D.

Président sortant EBMT Nurses Group
Groupe européen des sciences transfusionnelles et greffes de moelle osseuse
Infirmier de recherche
Centre médical universitaire
Amsterdam, Pays-Bas

R. Denise McAllister, MS, ARNP, AOCNP

Florida Cancer Specialists & Research Institute
Clearwater, Floride, États-Unis

Cindy Murray inf., M.Sc. inf., I.P.-adultes

Hématologie maligne, Hôpital Princess Margaret
Déléguée clinique
Université de Toronto, Faculté des sciences infirmières Lawrence S. Bloomberg
Toronto, Ontario, Canada

Geke Ong, inf.

Services réseau
Kings College NHS Foundation Trust
Londres, Royaume-Uni

Phyllis Paterson, inf., RSCN, oncologie

Infirmière clinicienne spécialisée dans le SMD
Cambridge University Hospitals NHS
Foundation Trust
Hôpital Addenbrooke
Cambridge, Royaume-Uni

Jean A. Ridgeway, M.Sc. inf., APN, NP-C, AOCN

Infirmière praticienne, Leucémie/Greffe de cellules souches
Centre médical de l'Université de Chicago
Département d'hématologie-oncologie
Chicago, Illinois, États-Unis

Barbara A. Rodgers, RN, BSN, OCN

Clinical Nurse Coordinator
Seattle Cancer Care Alliance
Seattle, Washington, États-Unis

Jayshree Shah, APN-C, AOCNP, inf., M.Sc. inf., B.Sc. inf., B.Sc., CCRP

Infirmière praticienne
Centre d'oncologie John Theurer
Centre médical de l'Université Hackensack
Hackensack, New Jersey, États-Unis

Natalie Singer, M.Sc., inf., B.Sc. (sp.)

CNS hématologie-oncologie Macmillan
The Beatson West of Scotland Cancer Centre
Glasgow, Écosse, Royaume-Uni

Samantha Soggee, RN, MN Cancer/Palliative Care

Haematology Clinical Trials Coordinator
Olivia Newton-John Cancer & Wellness Centre
Austin Hospital
Heidelberg, Victoria, Australie

Mary L. Thomas, inf., M.Sc., AOCN

Infirmière clinicienne en hématologie,
Système de soins de santé VA Palo Alto
Palo Alto, Californie, États-Unis
Professeure-associée de clinique
Université de la Californie, San Francisco,
San Francisco, Californie, États-Unis

Sara M. Tinsley, ARNP, AOCN

Infirmière praticienne en hématologie-oncologie
Centre d'oncologie H. Lee Moffitt
Tampa, Floride, États-Unis

Catherine Vassili, RN

Grad Cert Cancer Nursing Haematology
Nurse Coordinator
Leukaemia/MDS/MPN
Peter MacCallum Cancer Centre
Melbourne, Victoria, Australie

Services aux patients offerts par la MDS Foundation

La MDS Foundation fournit un certain nombre de services aux patients et à leurs aidants à l'échelle mondiale. Ces services incluent: orientation vers un Centre d'excellence reconnu par la MDS Foundation, orientation vers des services de soutien à l'intention des patients et des aidants touchés par le SMD et documentation imprimée et en ligne à l'intention des patients et de leurs aidants.

Pour en apprendre davantage, communiquez avec notre agent de liaison. Cette personne est disponible pour les patients qui viennent de recevoir un diagnostic et pour leur famille, tous les jours; elle peut leur proposer divers types d'aide, notamment:

- **Orienter le patient vers un de nos Centres d'excellence:** Notre agent de liaison mettra en contact les patients qui viennent de recevoir leur diagnostic avec un spécialiste du SMD de leur région du monde et travaillera étroitement avec le patient et l'établissement suggéré pour coordonner un rendez-vous qui conviendra au patient.
- **Fournir des renseignements sur les options thérapeutiques actuelles et les essais cliniques envisageables.** Notre agent de liaison répondra à des questions générales et offrira des renseignements sur les options thérapeutiques actuelles pour le SMD et sur les essais cliniques qui recrutent des patients atteints de SMD.
- **Fournir des réponses aux questions formulées par courriel et dans les médias sociaux.** Notre agent de liaison consultera nos sites de médias sociaux et fournira des réponses rapides aux questions soumises sur Facebook, Twitter et par courriel.
- **Créer un pont entre les patients atteints de SMD.** Notre agent de liaison maintiendra une liste des patients dans le monde qui autorisent la divulgation de leurs coordonnées à des patients qui viennent de recevoir leur diagnostic et qui ont besoin de soutien et de conseils de la part de quelqu'un qui reçoit actuellement un traitement pour un SMD; elle orientera aussi les patients vers la coordonnatrice de la MDS Foundation responsable des forums pour les patients et les familles.

Forums pour les patients et les familles

Ces événements sont des conférences gratuites d'une journée pour les patients atteints de SMD et leurs familles.

- Il faut s'inscrire pour y participer. Renseignez-vous sur les plus récents développements en matière de diagnostic et de traitement pour les SMD auprès d'experts de renom dans le domaine. Petit-déjeuner et dîner gratuits.
- Visitez le site Web de la MDS Foundation pour plus d'information à l'adresse www.mds-foundation.org/patient-and-family-forums

Agente de liaison de la MDS Foundation **Audrey Hassan**

1 800 MDS-0839 (aux États-Unis seulement)
1 609 298-1035 (à l'extérieur des États-Unis)
1 609 298-0590 télécopieur
courriel: patientliaison@mds-foundation.org
ahassan@mds-foundation.org

Coordonnatrice des forums de la MDS Foundation **Deborah Murray**

1 800 MDS-0839 (aux États-Unis seulement)
1 609 298-1035 (à l'extérieur des États-Unis)
1 609 298-0590 télécopieur
courriel: dmurray@mds-foundation.org

Forum en ligne pour les patients et leurs aidants

Forum de discussion en ligne gratuit qui permet un partage d'informations entre les patients, les aidants et les proches. Des experts de la MDS Foundation peuvent répondre à vos questions.

Pour plus d'information ou pour accéder au forum, rendez-vous à l'adresse www.mds-foundation.org/forums/forum/patient-forum

Groupes d'entraide à l'échelle mondiale

Pour une liste complète des groupes d'entraide à l'intention des patients atteints de SMD, consultez le site Web de la MDS Foundation à l'adresse www.mds-foundation.org/global-patient-support-groups

Pour être reconnu en tant que Centre d'excellence, un établissement doit être doté des éléments suivants:

- Programme universitaire établi (ou équivalent)
- Expertise morphologique reconnue en matière de SMD
- Accès à un laboratoire de cytogénétique et/ou de génétique moléculaire
- Recherche active, y compris essais cliniques approuvés par le comité d'examen de l'établissement
- Publications révisées par des pairs dans le domaine

Prière de communiquer avec la MDS Foundation pour d'autres renseignements

Centres d'excellence en matière de SMD aux États-Unis

Arizona

Mayo Clinic Hospital
Scottsdale, Arizona
Raoul Tibes, M.D.

The University of Arizona Cancer Center
Tucson, Arizona
Ravi Krishnadasan, M.D., FACP

Californie

Cedars-Sinai Medical Center
UCLA School of Medicine
Los Angeles, Californie
H. Phillip Koeffler, M.D.

City of Hope National Medical Center
Duarte, Californie
Stephen J. Forman, M.D.

Moore's Cancer Center at the
University of California, San Diego
Rafael Bejar, M.D., Ph.D.
Peter Curtin, M.D.

Stanford University Medical Center
Stanford, Californie
Peter L. Greenberg, M.D.

UCLA Center for Health Sciences
Los Angeles, Californie
Gary J. Schiller, M.D.

University of Southern California
Keck School of Medicine
Los Angeles, Californie
Casey L. O'Connell, M.D.

Colorado

University of Colorado Cancer Center
University of Colorado School of Medicine
Aurora, Colorado
Daniel A. Pollyea, M.D., M.S.

Connecticut

Yale Cancer Center/Smilow Cancer Hospital
Yale University School of Medicine
New Haven, Connecticut
Steven D. Gore, M.D.

Floride

All Children's Hospital
St. Petersburg, Floride
Gregory Hale, M.D.

Mayo Clinic
Jacksonville, Floride
Alvaro Moreno-Aspitia, M.D.
James M. Foran, M.D.

Moffitt Cancer Center
Tampa, Floride
Alan F. List, M.D.

Sylvester Comprehensive Cancer Center
University of Miami Miller School of Medicine
Miami, Floride
Stephen D. Nimer, M.D.

University of Florida
Shands Hospital
Gainesville, Floride
Christopher R. Cogle, M.D.

Géorgie

Emory Winship Cancer Institute
Emory University School of Medicine
Atlanta, Géorgie
Amelia Langston, M.D.

The Blood and Marrow Transplant Program
at Northside Hospital
Atlanta, Géorgie
Asad Bashey, M.D.

Illinois

Loyola University Chicago
Cardinal Bernardin Cancer Center
Maywood, Illinois
Scott E. Smith, M.D., Ph.D.

Lutheran General Hospital
Park Ridge, Illinois
Anastasios Raptis, M.D.

Robert H. Lurie Comprehensive Cancer
Center of Northwestern University
Feinberg School of
Chicago, Illinois
Olga Frankfurt, M.D.

Rush University Medical Center
Chicago, Illinois
Stephanie A. Gregory, M.D.
Jamile Shammo, M.D.
www.rush.edu

University of Chicago Medical Center
Chicago, Illinois
Richard A. Larson, M.D.
http://webres.uccrc.org/clinical_trials

Indiana

Indiana University Simon Cancer Center
Indianapolis, Indiana
Larry Cripe, M.D.
Hamid Sayar, M.D., M.S.

Maryland

Johns Hopkins University School of
Medicine
Baltimore, Maryland
Amy Elizabeth Dezern, M.D.
www.hopkinsmedicine.org
<http://trials.johnshopkins.edu>

University of Maryland
Greenebaum Cancer Center
Baltimore, Maryland
Maria R. Baer, M.D.
www.umgcc.org
<http://oncure.umm.edu/sip/SIPMain>

Massachusetts

Children's Hospital Boston
Boston, Massachusetts
Inga Hofmann, M.D.
www.pedimds.org

Dana-Farber Cancer Institute
Boston, Massachusetts
Benjamin Ebert, M.D.
Richard M. Stone, M.D.
David P. Steensma, M.D.
www.dana-farber.org
www.dana-farber.org/Research/Clinical-Trials/Clinical-Trial.aspx?tid=2330

Massachusetts General Hospital
Cancer Center
Boston, Massachusetts
Timothy Graubert, M.D.

Tufts University School of Medicine
Tufts Medical Center
Boston, Massachusetts
Kellie Sprague, M.D.

Michigan

Barbara Ann Karmanos Cancer Institute
Wayne State University
Detroit, Michigan
Charles A. Schiffer, M.D.

William Beaumont Hospital Cancer Center
Royal Oak, Michigan
Ishmael Jaiyesimi, D.O.

Minnesota

Mayo Clinic
Rochester, Minnesota
Mark R. Litzow, M.D.
www.mayoclinic.org

University of Minnesota Medical Center, Fairview
University of Minnesota Medical School
Minneapolis, Minnesota
Erica D. Warlick, M.D.

Missouri

Washington University School of Medicine
Siteman Cancer Center
St. Louis, Missouri
John F. DiPersio, M.D., Ph.D.

Nebraska

University of Nebraska Medical Center
Omaha, Nebraska
Lori Maness, M.D.

New Hampshire

Dartmouth-Hitchcock Medical Center and Norris Cotton Cancer Center
Lebanon, New Hampshire
Kenneth R. Meehan, M.D.

New Jersey

The Cancer Center of Hackensack University Medical Center
Hackensack, New Jersey
Stuart Goldberg, M.D.
www.hackensackumc.org

New York

Albert Einstein College of Medicine Cancer Center
Bronx, New York
Amit Verma, M.D.
www.M.D.treatment.com/investigational-therapy-2

Columbia University Medical Center
New York, New York
Azra Raza, M.D.

Icahn School of Medicine at Mount Sinai
New York, New York
Lewis R. Silverman, M.D.
www.mountsinai.org

Memorial Sloan-Kettering Cancer Center
New York, New York
Virginia M. Klimek, M.D.

Monter Cancer Center/ NSLJ Cancer Institute
Lake Success, New York
Steven L. Allen, M.D.

New York Medical College/ Westchester Medical Center
Zalmen A. Arlin Cancer Center
Valhalla, New York
Karen Seiter, M.D.

Roswell Park Cancer Center
Buffalo, New York
James E. Thompson, M.D.

University of Rochester Cancer Center
Rochester, New York
Jane Liesveld, M.D.

Weill Medical College of Cornell University
New York Presbyterian Hospital
New York, New York
Gail J. Roboz, M.D.

North Carolina

Duke University Medical Center
Durham, North Carolina
Carlos M. deCastro, M.D.

Wake Forest University School of Medicine
Comprehensive Cancer Center
Winston-Salem, North Carolina
Bayard L. Powell, M.D.

Ohio

Cleveland Clinic Foundation
Taussig Cancer Center
Cleveland, Ohio
Jaroslaw Maciejewski, M.D., Ph.D.
<http://my.clevelandclinic.org/default.aspx>

The Ohio State Comprehensive Cancer Center
James Cancer Hospital and Solove Research Institute
Columbus, Ohio
Alison R. Walker, M.D.

Pennsylvania

Fox Chase Cancer Center
Philadelphia, Pennsylvania
Patricia Kropf, M.D.

The Western Pennsylvania Cancer Institute
Pittsburgh, Pennsylvania
James M. Rossetti, D.O.

University of Pennsylvania Cancer Center
Philadelphia, Pennsylvania
Selina Luger, M.D.

Tennessee

Vanderbilt University Medical Center
Nashville, Tennessee
Sanjay Mohan, M.D.
Michael R. Savona, M.D.

Texas

Cancer Care Centers of South Texas
San Antonio, Texas
Roger Lyons, M.D.
<http://cancercaresouthtexas.com>

Southwest Regional Cancer Center
Austin, Texas
Richard Helmer, III, M.D.

University of Texas
MD Anderson Cancer Center
Houston, Texas
Guillermo Garcia-Manero, M.D.
Hagop Kantarjian, M.D.
www.mdanderson.org

University of Texas Southwestern Medical Center
Dallas, Texas
Robert H. Collins, Jr., M.D., FACP

Washington

Fred Hutchinson Cancer Research Center
University of Washington
Seattle Cancer Care Alliance
Seattle, Washington
Joachim Deeg, M.D.
Elihu Estey, M.D.

Washington, DC

Georgetown University Hospital
Lombardi Comprehensive Cancer Center
Washington, D.C.
Catherine Broome, M.D.

George Washington University
VA Medical Center
Washington, D.C.
Charles S. Hesdorffer, M.D.

Wisconsin
Medical College of Wisconsin
Bone Marrow Transplant Program
Milwaukee, Wisconsin
Parameswaran Hari, M.D.

University of Wisconsin
Madison Medical School
Madison, Wisconsin
Mark B. Juckett, M.D.

Centres d'excellence en matière de SMD à l'extérieur des États-Unis

Argentine

Sanatorio Sagrado del Corazón
Buenos Aires, Argentine
Marcelo Iastrebner, M.D.

Arménie

Hôpital Universitaire Muratsan
Complexe Yerevan
Université médicale d'état
Yerevan, Arménie
Gevorg Tamamyán, M.D.

Australie

Peter MacCallum Cancer Institute
University of Melbourne
East Melbourne, Australie
John F. Seymour, M.D.

The Royal Melbourne Hospital
Parkville Victoria, Australie
David Ritchie, M.D.

University of Tasmania
Royal Hobart Hospital
Hobart, Tasmanie, Australie

Autriche

Hanusch Hospital
Medical University of Vienna
Vienna, Autriche
Michael Pfeilstöcker, M.D.

Université médicale de Vienne
Vienne, Autriche
Peter Valent, M.D.

Hôpital universitaire d'Innsbruck
Innsbruck, Autriche
Reinhard Stauder, M.D.

Belgique

AZ Sint-Jan AV
Bruges, Belgique
Dominik Selleslag, M.D.

Hôpital universitaire de Louvain
Louvain, Belgique
Michel Delforge, M.D., Ph.D.

Brésil

Centre d'oncologie de l'hôpital A.C.
Camargo
São Paulo, Brésil
Luiz Fernando Lopes, M.D., Ph.D.

Servico de Hematologia do Hospital
das Clinicas
da Faculdade de Medicina da Universidade de
a Faculdade de Medicina da Universidade de
São Paulo São Paulo, Brésil
Elvira R.P. Velloso, M.D., Ph.D.

Universidade Federal de Ceará
Ceará, Brésil
Sílvia Maria M. Magalhães, M.D., Ph.D.

Universidade Federal de São Paulo
São Paulo, Brésil
Maria de Lourdes Chauffaille, M.D., Ph.D.

Canada

Princess Margaret Hospital
Toronto, Ontario, Canada
Karen Yee, M.D.

Toronto Sunnybrook Regional Cancer Centre
Toronto, Ontario, Canada
Richard A. Wells, M.D.

University of Toronto
Hospital for Sick Children
Toronto, Ontario, Canada
Yigal Dror, M.D.

Chine

The First Affiliated Hospital of
Soochow University
Jiangsu Institute of Hematology
Jiangsu Province, Chine
Suning Chen, M.D., Ph.D.

Institut de l'Hôpital hématologique et des
maladies sanguines
Académie chinoise des sciences médicales
Tianjin, Chine
Zhijian Xiao, M.D.

Sixième Hôpital affilié à l'Université
Jiaotong de Shanghai
Shanghai, Chine
Xiao Li, MD, Ph.D.

République tchèque

Institut d'hématologie et de transfusion
sanguine
Prague, République tchèque
Jaroslav Cermák, M.D., Ph.D.

Danemark

Hôpital universitaire Odense
Université du Sud du Danemark
Odense, Danemark
Gitte Birk Kerndrup, M.D.

Hôpital universitaire national Rigshospitalet
Copenhague, Danemark
Kirsten Gronbaek, MD
Lars Kjeldsen, M.D., Ph.D.

France

Centre Henri Becquerel
Faculté de médecine de l'Université de Rouen
Rouen, France
Aspasia Stamatoullas, M.D.

Centre Hospitalier Universitaire (CHU)
d'Angers
Service des maladies du sang
Angers, France
Norbert Ifrah, M.D.

Centre Hospitalier Universitaire (CHU)
de Grenoble
Grenoble, France
Jean-Yves Cahn, M.D.

Centre Hospitalier Universitaire (CHU)
de Limoges
Hôpital Dupuytren
Limoges, France
Dominique Bordessoule, M.D.

Centre Hospitalier Universitaire (CHU)
de Nancy
Nancy, France
Agnès Guerci-Bresler, M.D., Ph.D.

Centre Hospitalier Universitaire (CHU) de Tours

Hôpital Bretonneau
Tours, France
Emmanuel Gyan, M.D., Ph.D.

Hôpital Avicenne/Université Paris XIII

Bobigny, France
Thorsten Braun, M.D.
Claude Gardin, M.D.

Hôpital Cochin/Université Paris V

Paris, France
Francois Dreyfus, M.D.

Hôpital Saint Louis/University Paris VII

Paris, France
Pierre Fenaux, M.D., Ph.D.
Christine Chomienne, M.D., Ph.D.

Hôpital Saint-Vincent

Université Catholique de Lille
Lille, France
Christian Rose, M.D.

Institut Paoli-Calmettes

Marseille, France
Norbert Vey, M.D.

Service des Maladies du Sang

Hôpital Claude Huriez
Lille, France
Bruno Quesnel, M.D.

Allemagne

Albert-Ludwigs-Universität Freiburg

Freiburg, Allemagne
Michael Lübbert, M.D., Ph.D.

Georg-August-Universität Göttingen

Göttingen, Allemagne
Detlef Haase, M.D., Ph.D.

Faculté de médecine de Hanovre

Medizinische Hochschule Hannover
Hanovre, Allemagne
Arnold Ganser, M.D.

Hôpital Universitaire

Heinrich-Heine de Düsseldorf
Düsseldorf, Allemagne
Ulrich Germing, M.D.

Johann Wolfgang Goethe Universität

Francfort-sur-le-Main, Allemagne
Gesine Bug, M.D.

Klinikum Rechts der Isar

Université technique de Munich
Munich, Allemagne
Katharina Götze, M.D.

MLL Münchner Leukämielabor

Munich, Allemagne
Torsten Haferlach, M.D.

Rems-Murr-Klinik Winnenden

Winnenden, Germany
Stefani Parmentier, M.D.

Hôpital St. Johannes

Heinrich-Heine Universität
Duisbourg, Allemagne
Carlo Aul, M.D., Ph.D.
Aristotle Giagounidis, M.D., Ph.D.

University of Heidelberg Medical Center

St. Lukas Klinik Solingen
Solingen, Allemagne
Ulrich Mahlknecht, M.D., Ph.D.

Universität Hamburg

Hambourg, Allemagne
Nicolaus Kröger, M.D., Ph.D.

Universitätsklinikum Carl Gustav Carus

Dresde, Allemagne
Uwe Platzbecker, M.D.

Hôpital universitaire pédiatrique

Fribourg, Allemagne
Charlotte Niemeyer, M.D.

Université de Cologne

Cologne, Allemagne
Karl-Anton Kreuzer, M.D.

University Hospital Mannheim

Mannheim, Germany
Wolf-Karsten Hofmann, M.D., Ph.D.

Grèce

Hôpital général G. Papanicolaou de Thessalonique

Université de Thessalonique
Thessalonique, Grèce
Charikleia Kelaidi, M.D.

Hôpital universitaire de Patras

Patras, Grèce
Argiris Symeonidis, M.D.

Université d'Athènes

Hôpital Laikon
Athènes, Grèce
Nora Viniou, M.D.

Hôpital général universitaire Attikon

Athènes, Grèce
Vassiliki Pappa, M.D.

Hongrie

Faculté de médecine de l'Université Semmelweis

Budapest, Hongrie
Judit Várkonyi, M.D., Ph.D.

Inde

Centre médical Tata

Calcutta, Inde
Col (Dr.) Deepak Kumar Mishra, M.D.

Tata Memorial Hospital

Mumbai, Inde
Purvish Parikh, M.D.

Irlande

Adelaide and Meath Hospital

Dublin, Irlande
Helen Enright, M.D.

Israël

Centre médical Chaim Sheba

Tel-Hashomer, Israël
Drorit Merkel, M.D.

Centre médical Sourasky de Tel-Aviv

Tel-Aviv, Israël
Moshe Mittelman, M.D.

Italie

Centro di Riferimento Oncologico di Basilicata (CROB)

Rionero in Vulture (PZ), Italie
Pellegrino Musto, M.D.

Istituto di Ematologia

Universita' Cattolica Sacro Cuore
Rome, Italie
Giuseppe Leone, M.D.
Maria Teresa Voso, M.D.

Policlinico Tor Vergata

Rome, Italy
Sergio Amadori, M.D.
Maria Teresa Voso, M.D.

S. Eugenio Hospital Tor Vergata University

Rome, Italy
Paolo de Fabritiis, M.D.
Pasquale Niscola, M.D.

Université de Florence

Azienda OSP Careggi
Florence, Italie
Valeria Santini, M.D.

Faculté de médecine de l'Université de Pavie

Fondazione IRCCS Policlinico San Matteo
Pavie, Italie
Mario Cazzola, M.D.

Japon

Hôpital universitaire de Kyoto

Kyoto, Japon
Akifumi Takaori, M.D.

Centre métropolitain de recherche sur les maladies du sang

Hôpital général Shin-Yurigaoka
Kanagawa, Japon
Kiyoyuki Ogata, M.D., FACP

Hôpital universitaire de Nagasaki
Faculté de médecine
Institut des maladies liées à la
bombe atomique
Nagasaki, Japon
Yasushi Miyazaki, M.D.

Centre médical international Saitama
Université médicale de Saitama
Hidaka, Saitama, Japon
Akira Matsuda, M.D.

Université médicale de Tokyo
Tokyo, Japon
Kazuma Ohyashiki, M.D., Ph.D.

Corée

**Centre catholique de transplantation
sanguine et médullaire**
Université catholique de la Corée
Séoul, Corée
Yoo-Jin Kim, M.D.

Hôpital universitaire national de Séoul
Université nationale de Séoul
Faculté de médecine
Séoul, Corée
Dong Soon Lee, M.D., Ph.D.

Yonsei Cancer Center, Severance Hospital
Yonsei University College of Medicine
Séoul, Corée
June-Won Cheong, M.D., Ph.D.

Pays-Bas

Centre médical universitaire
Saint-Radboud de Nimègue
Centre de biologie moléculaire de Nimègue
Nimègue, Pays-Bas
Gerwin G.A. Huls, M.D.

**Centre médical universitaire Vrije
Amsterdam, Pays-Bas**
Arjan A. van de Loosdrecht, M.D., Ph.D.

Pérou

**Instituto Nacional de Enfermedades
Neoplasicas**
Lima, Pérou
Carlos E. Vigil-Gonzales, M.D.

Pologne

Université Jagiellonian
Faculté de médecine
Cracovie, Pologne
Aleksander Skotnicki, M.D., Ph.D.

Portugal

Hospital de Santa Maria
Lisbonne, Portugal
Joao F. Lacerda, M.D.

Arabie saoudite

**Hôpital spécialisé et centre de recherche
Roi Fayçal**
Riyad, Arabie saoudite
Amr Hanbali, M.D.

Hôpital universitaire Roi Khaled
Université Roi Saoud
Riyad, Arabie saoudite
Ak Almomen, M.D.

Singapour

Hôpital général de Singapour
Singapour
Aloysius Ho, M.D.

Afrique du Sud

**University of Cape Town
Groote Schuur Hospital**
Le Cap, Afrique du Sud
Nicolas Novitzky, M.D., Ph.D.

Espagne

Hospital Universitario de Salamanca
Salamanque, Espagne
Consuelo del Cañizo, M.D., Ph.D.

Hospital Universitario La Fe
Valence, Espagne
Miguel A. Sanz, M.D., Ph.D.

Hospital Universitario Vall d'Hebron
Laboratorio de Citologia-Citogenetica
Barcelone, Espagne
Maria Teresa Vallespi-Sole, M.D., Ph.D.

Suède

**Institut et Hôpital universitaire de
Karolinska à Huddinge**
Stockholm, Suède
Eva Hellstrom-Lindberg, M.D., Ph.D.

Suisse

University Hospital and University of Bern
Bern, Suisse
Nicolas Bonadies, M.D.

Hôpital universitaire de Zurich
Zurich, Suisse
Bernhard Gerber, M.D.

Taiwan

**Chang Gung Memorial Hospital
Chang Gung University**
Taoyuan, Taiwan
Lee-Yung Shih, M.D.

Hôpital universitaire national de Taïwan
Taipei, Taïwan
Hwei-Fang Tien, M.D., Ph.D.

Thaïlande

King Chulalongkorn Memorial Hospital
Pathumwan, Bangkok, Thaïlande
Tanin Intragumtornchai, M.D.

Tunisie

Hôpital Aziza Othmana
Tunis, Tunisie
Balkis Meddeb, M.D.

Turquie

**Hôpital de la faculté de médecine
de l'Université d'Ankara**
Ankara, Turquie
Osman Ilhan, M.D.

Ukraine

Centre de recherche en radiologie
Kiev, Ukraine
Dimitry Bazyka, M.D.

Royaume-Uni

Aberdeen Royal Infirmary
Aberdeen University School of Medicine
Foresterhill, Aberdeen, Écosse
Dominic Culligan, M.D.

Addenbrookes Hospital
Cambridge University Hospitals
NHS Foundation Trust
Cambridge, Royaume-Uni
Alan J. Warren, Ph.D., FRCP, FRCPath

Christie NHS Foundation Trust
Manchester, Royaume-Uni
Mike Dennis, M.D.

**King's College London et
King's College Hospital**
Londres, Royaume-Uni
Ghulam J. Mufti, DM, FRCP, FRCPath

Queen Elizabeth Hospital
University Hospital Birmingham NHS Trust
Birmingham, Royaume-Uni
Manoj Raghavan, M.D.

**Radcliffe Hospitals et
University of Oxford**
Oxford, Royaume-Uni
Paresh Vyas, M.D.

Royal Bournemouth Hospital
Bournemouth, Royaume-Uni
Sally Killick, M.D.

St. James's University Hospital
St. James's Institute of Oncology
Leeds, Royaume-Uni
David T. Bowen, M.D.

University Hospital of Wales
Cardiff, Pays de Galles
Jonathan Kell, M.D.

Organismes spécifiques aux SMD

Life Beyond Limits

Réunit un groupe indépendant d'experts du SMD pour une plus grande sensibilisation à l'âgeisme dans l'accès aux soins pour les patients atteints de SMD.

www.mdslifebeyondlimits.org

MDS Beacon

Nouvelles et autres renseignements objectifs et impartiaux sur le SMD; sa mission est d'être une ressource clé sur Internet et une communauté en ligne pour les patients atteints de SMD, leurs familles et quiconque s'intéresse aux SMD.

www.mdsbeacon.com

MDS Foundation

Organisation multidisciplinaire, internationale à but non lucratif qui se consacre à renseigner les professionnels, les patients et les aidants; organise et appuie des essais cliniques et élabore et soutient des groupes de défense des intérêts des patients.

www.mds-foundation.org

United Kingdom MDS Patient Support Group

Offre du soutien, de l'information, des références et des renseignements pour les patients sur le territoire du Royaume-Uni

www.mdspatientsupport.org.uk

Organisations qui incluent le SMD dans les cancers du sang

Aplastic Anemia and MDS Foundation

Organisation à but non lucratif du domaine de la santé qui vient en aide aux patients et familles touchés par l'anémie aplasique, les SMD, l'hémoglobinurie paroxysmique nocturne et autres insuffisances médullaires.

www.aamds.org

Leukaemia and Lymphoma Research Foundation

Programmes pour les patients et leurs familles touchés par tous les cancers du sang

www.leukaemiaandlymphomaresearch.org

Leukaemia Care

Ressources pour les personnes touchées par la maladie de Hodgkin, le lymphome non hodgkinien et autres lymphomes, le myélome, le SMD, l'anémie aplasique et les troubles myéloprolifératifs

www.leukaemiacare.org.uk

Leukaemia Foundation

La Leukaemia Foundation est le principal organisme australien à fournir des services gratuits aux patients et à leurs proches touchés par la leucémie, le lymphome, le myélome et d'autres maladies du sang, y compris le SMD.

www.leukaemia.org.au

Leukemia and Lymphoma Society

Sa mission est de trouver un remède contre la leucémie, le lymphome, la maladie de Hodgkin et le myélome et améliorer la qualité de vie des patients et de leurs proches.

www.lls.org

Ressources générales

American Cancer Society

www.cancer.org

American Society of Clinical Oncology

www.asco.org et www.cancer.net

American Society of Hematology

www.hematology.org

CancerCare

www.cancercare.org

Medline Plus®

www.nlm.nih.gov/medlineplus/medlineplus.html

Merck Manual Home Edition for Patients and Caregivers

www.merckmanuals.com/home/index.html

National Anemia Action Council

www.anemia.org

National Heart, Lung and Blood Institute

www.nhlbi.nih.gov

National Marrow Donor Registry

www.marrow.org

Pour plus de renseignements, consultez aussi: *Chapitre 2: Recherche de traitements, SMD chez les enfants et Sources de renseignements sur le SMD et les cancers chez les enfants*

Lignes directrices de la MDS Foundation pour la mise sur pied de groupes d'entraide

Le but d'un groupe d'entraide est de réunir des personnes qui font face à des défis similaires pour qu'elles se rencontrent, qu'elles partagent leurs sentiments, qu'elles trouvent des renseignements et qu'elles socialisent.

Voici quelques idées sur la façon de démarrer votre propre groupe d'entraide actif et dynamique.

Planification de la réunion

- Trouvez un lieu de réunion, déterminez la date et l'heure. La plupart des bibliothèques, des églises et des hôpitaux disposent de salles de réunion qui sont souvent gratuites pour les organismes à but non lucratif.
- Réservez les services d'un conférencier invité (un spécialiste de l'un des Centres d'excellence en matière de SMD). Ils parleront gratuitement si vous le leur demandez. La MDS Foundation sera heureuse de vous aider, dans la mesure du possible.
- Placez des affiches ou distribuez des dépliants dans les bureaux médicaux, les pharmacies, sur les babillards des hôpitaux, dans les bibliothèques, les halls d'entrée d'églises, les épiceries, etc.
- Annoncez la tenue de la réunion dans les journaux locaux. La plupart des journaux ont une rubrique Santé qui comprend un agenda, un calendrier ou une section pour les groupes d'entraide. C'est un service gratuit qu'offrent les journaux.
- Demandez aux journaux locaux et aux revues médicales spécialisées de rédiger des articles sur les syndromes myélodysplasiques.
- Les hôpitaux locaux ont un calendrier d'activités. Appelez les hôpitaux et demandez que l'on vous inscrive sur leur liste de groupes d'entraide.
- Affichez l'information au sujet de votre groupe d'entraide sur le site Web de la MDS Foundation. La MDS Foundation peut poster les invitations à tous les patients atteints de SMD et leurs familles dont elle a les coordonnées. Notez que ces listes sont confidentielles.
- Communiquez avec la MDS Foundation pour obtenir des dépliants d'information à distribuer aux patients.
- Prévoyez des rafraîchissements.

Comment la MDS Foundation peut-elle soutenir votre groupe?

- Nous pouvons annoncer votre groupe dans nos bulletins imprimés et électroniques.
- Nous pouvons distribuer les dépliants annonçant votre réunion à nos membres, professionnels de la santé et patients.
- Au besoin, nous pouvons fournir des exemples types de dépliants, de formulaires, de lettres, etc.
- Nous pouvons participer au recrutement des membres, offrir des feuillets de renseignements aux patients et agir à titre de conseillers généraux.
- Nous pouvons communiquer avec le Centre d'excellence en matière de SMD de votre région pour réserver un lieu pour votre réunion.
- Nous pouvons vous aider à choisir un animateur pour votre groupe.
- Nous pouvons vous aider à réserver les services des conférenciers invités (experts, hématologues, chercheurs ou représentants de sociétés pharmaceutiques).
- Nous pouvons mettre à votre disposition un représentant de la MDS Foundation pour faciliter la tenue de votre réunion inaugurale.
- Nous pouvons fournir un soutien financier pour défrayer les frais de démarrage ou le coût du café et des rafraîchissements.

Voilà ce que la MDS Foundation peut faire pour vous aider. Si vous avez une demande qui ne fait pas partie des listes précédentes, n'hésitez pas à communiquer avec nous.

Formule suggérée pour la réunion

Vous pouvez choisir un animateur à l'avance (la MDS Foundation sera heureuse de vous aider). L'animateur accueillera les participants et leur demandera de se présenter.

L'animateur présentera alors le conférencier invité qui prononcera quelques mots au sujet du SMD, de la MDS Foundation, des programmes et services offerts, de la structure proposée pour un groupe d'entraide et de ses avantages.

Prévoyez une période de questions avec l'animateur à la fin de la présentation. Voici quelques exemples de questions que vous voudrez aborder.

- Quels sont les principaux secteurs sur lesquels le groupe d'entraide devrait se concentrer?
Par exemple:
 - Forums d'information
 - Réunions de soutien
 - Aide aux personnes pour l'accessibilité aux services et aux traitements
 - Collecte de fonds pour la recherche et les services aux patients
 - Activités de sensibilisation
 - Système de pairs aidants pour soutenir les patients qui viennent de recevoir leur diagnostic et leurs familles
- Qui est disponible pour aider à organiser ou offrir ces services et ces événements?

Description des postes

Animateur du groupe d'entraide

Aperçu

L'animateur des réunions du groupe d'entraide est responsable d'organiser les réunions. L'animateur du groupe d'entraide est là pour guider le groupe, stimuler la discussion, gérer la dynamique du groupe et encourager l'interaction.

Responsabilités

- Réserver une salle
- Préparer un ordre du jour
- Coordonner les conférenciers, au besoin
- Présenter et remercier les conférenciers lors des réunions
- Offrir les rafraîchissements
- Veiller à la sécurité du lieu
- Fournir des renseignements à la MDS Foundation sur les sujets dignes d'intérêt

Suggestion quant au temps requis

- Une réunion par mois (environ deux heures/mois)
- Coordination des conférenciers (environ deux heures/mois)

Activités suggérées lors des réunions

- Tenir des réunions avec les aidants pour discuter de leurs préoccupations, de leurs problèmes, de leurs frustrations et partager des idées pour favoriser le repos, la relaxation et l'adaptation au stress.
- Discuter des ressources disponibles: programmes gouvernementaux, transport, programmes de répit, maisons de soins de soutien communautaires, assurance vie, assurance voyage.
- Aborder la peur de la mort, l'adaptation à ce qui se prépare, tant pour le patient que pour ses proches.
- Faire le point sur la recherche (inviter un hématologue, un chercheur ou un représentant de société pharmaceutique). (Noter: Le conférencier ne recommande pas une forme de traitement ou de médicament aux participants.)
- Tenir une soirée pour discuter d'une vidéo ou d'un livre. Demander aux participants de présenter au groupe leur opinion sur un livre ou une vidéo.
- Vous pouvez communiquer avec l'agente de liaison de la MDS Foundation qui vous fournira les coordonnées d'autres groupes d'entraide pour échanger sur les thèmes et les activités envisagés pour votre groupe.

Évaluation du groupe d'entraide

Il est nécessaire de procéder à une évaluation continue du groupe d'entraide pour qu'il reste à jour. Lorsque vous choisissez un conférencier et un thème en vue d'une réunion, discutez du but avec le conférencier, puis établissez des objectifs en lien avec les renseignements à transmettre. À partir de ces objectifs, préparez un court formulaire d'évaluation qui devra être rempli à la fin de la réunion. Ces commentaires faciliteront la préparation de l'ordre du jour de la prochaine réunion.

N'oubliez pas...

Le groupe d'entraide est là pour aider ceux qui vivent avec un SMD et leurs familles. Sentez-vous à l'aise de les interroger pour vous informer de ce dont ils aimeraient discuter ou de ce qu'ils aimeraient apprendre durant une réunion.

Il faut noter que tous les sujets ne sont pas appropriés pour tous les participants. Par exemple, parler de la mort et du mourir peut déranger certaines personnes touchées.

Guide pour les dons planifiés à des organismes de bienfaisance – Vaincre les SMD

Nous tous, de la communauté touchée par les SMD (patients et membres de leurs familles, médecins, personnel médical et chercheurs) reconnaissons bien l'énormité de la tâche qui nous attend pour vaincre cette maladie. Même si de grandes avancées ont eu lieu depuis une trentaine d'années, même si nous comprenons mieux à présent les différents types de SMD et qu'il existe désormais des lignes directrices pronostiques, la base financière qui sous-tend la recherche est fragile. La MDS Foundation pose déjà de nombreux gestes pour contrer les effets invalidants des SMD, notamment:

- Elle organise des symposiums internationaux bisannuels pour faire le point sur les SMD pour le bénéfice des médecins, partout dans le monde
- Elle a subventionné l'étude qui a récemment permis de réviser le système de classification pronostique IPPS (*International Prognostic Scoring System*) (IPSS-R)
- Elle tient des forums pour les patients, en personne et sur le Web
- Elle diffuse de la documentation imprimée pour les patients et les aidants
- Elle offre les services d'une agente de liaison, qui renseigne les patients par téléphone et qui les oriente, eux et leurs aidants lorsqu'ils ont des questions
- Elle met sur pied des groupes d'entraide à l'échelle internationale
- Elle verse des subventions à l'intention des jeunes chercheurs
- Elle sert de centre de renseignements sur les essais cliniques

La MDS Foundation ne peut toutefois appliquer ce programme qu'à la condition d'avoir les ressources financières suffisantes. Cela requiert des dons provenant d'individus et de corporations. C'est à cette fin que la MDS Foundation a mis sur pied son Programme de don planifié.

Pour les individus qui choisissent cette option, le don planifié est une façon de donner à des organismes de bienfaisance tout en optimisant les avantages financiers et fiscaux pour les donateurs. Le don planifié devrait occuper une place importante dans la planification financière et successorale des personnes qui souhaitent contribuer à vaincre les SMD. La MDS Foundation peut fournir aux donateurs potentiels des conseils professionnels pour les aider à maximiser les avantages qu'ils peuvent tirer de leur don. Parmi les approches suggérées par la MDS Foundation pour effectuer un don, mentionnons:

Dons directs à un organisme de bienfaisance

La façon la plus simple et pourtant la plus efficace d'aider la MDS Foundation est sans contredit, de lui faire un don. Le don à un organisme de bienfaisance est déductible d'impôts pour les personnes qui choisissent cette option. Il peut être fait en argent ou sous forme d'actions ou d'autres biens. Compte tenu des hausses actuellement enregistrées sur les marchés, le donateur peut obtenir un avantage fiscal si, plutôt que de l'argent, il offre à la MDS Foundation des actions qui ont pris de la valeur. Dans un tel cas, il recevrait en effet une déduction fiscale complète pour la valeur des actions, sans avoir à payer l'impôt sur le gain en capital, alors qu'en tant qu'organisme exempt d'impôts, la MDS Foundation pourrait vendre ces actions sans avoir à payer d'impôts. Si les actions avaient été vendues par le donateur, le fruit de la vente aurait été diminué par l'impôt sur le gain en capital.

Legs

Les personnes qui souhaitent spécialement contribuer à vaincre les SMD peuvent choisir de faire un don à la MDS Foundation au moment de leur décès. Compte tenu des taux d'imposition fédéraux et provinciaux, cela peut se révéler particulièrement avantageux au moment du décès. Un don à la MDS Foundation par voie de testament permet de convertir des dollars qui seraient autrement versés en impôts successoraux en une aide pour la lutte contre le SMD. Étant donné que les produits de l'assurance peuvent être également assujettis à l'impôt successoral, il pourrait également être avantageux au plan fiscal de nommer la MDS Foundation comme bénéficiaire d'une police d'assurance

en tout ou en partie. Si la MDS Foundation est nommée bénéficiaire d'une police d'assurance, en plus des avantages fiscaux successoraux, le donateur peut profiter d'une déduction d'impôts sur le revenu tant pour la valeur de la police au moment du transfert que sur les primes annuelles payées.

Fiducies à vocation principale de bienfaisance

Un outil efficace pour l'économie d'impôts est la fiducie à vocation principale de bienfaisance (FVPB). Il s'agit d'une fiducie qui permet à un donateur d'éliminer des revenus imposables tout en réduisant les impôts successoraux et les impôts sur les dons que devraient verser ses héritiers. La FVPB est créée du vivant de la personne ou à son décès et permet le paiement d'une rente ou d'un pourcentage de la valeur de la fiducie à la MDS Foundation pour une durée fixe en années ou pour la vie du donateur. Le capital restant à la fin de la fiducie est ensuite distribué aux membres de la famille. L'impôt successoral ou l'impôt sur les dons appliqué au capital et auquel la famille est assujettie s'en trouve réduit d'un montant qui reflète la valeur du rendement de l'argent en raison de sa récupération différée. Donc, l'impôt sur les dons ou l'impôt successoral est calculé sur une portion beaucoup plus faible du montant que la famille aurait reçu en réalité au terme de la fiducie (selon le rendement de ses investissements).

La FVPB peut être une technique très efficace de réduction des impôts successoraux pour les personnes qui souffrent de SMD, mais qui présentent une probabilité de 50 % de survivre plus d'un an. Dans ce cas, la fiducie pourrait prévoir que la MDS Foundation reçoive un paiement annuel pour la vie de la personne, le capital étant transféré à la famille au moment du décès du donateur. En vertu de la Loi sur l'impôt, les déductions fiscales successorales et sur les dons sont déterminées sur la base de la durée de vie normale du donateur. Cela fait en sorte que la déduction pour don de bienfaisance est beaucoup plus imposante que si on appliquait une espérance de vie normale. Il en résulte un impôt successoral significativement moindre.

La FVPB peut être conçue de manière à ce que le donateur ait droit à une déduction fiscale ponctuelle au moment de l'établissement de la fiducie équivalente à la valeur actuelle de la suite des rentes payées à la MDS Foundation. Cette déduction peut contrebalancer tout montant de revenu supplémentaire lors d'une année particulière (p. ex., gain en capital sur la vente d'un actif majeur). D'autre part, la fiducie peut être conçue de manière à ce qu'aucune déduction fiscale ne soit effectuée initialement, alors que le revenu généré par la fiducie n'est pas inclus dans le revenu brut du donateur aux fins de la fiscalité.

Fiducie résiduaire de bienfaisance

Une fiducie résiduaire de bienfaisance (FRB) est l'inverse d'une FVPB. Elle fournit aussi une déduction fiscale pour don de bienfaisance, de même qu'une déduction pour don ou déduction successorale. Une FRB est une fiducie créée du vivant de la personne ou à son décès à partir de laquelle un montant fixe en dollars (c.-à-d. paiement d'une rente) ou un pourcentage fixe de la valeur nette et équitable des actifs sur le marché (c.-à-d. paiement « unitrust ») est versé au moins annuellement au donateur ou aux membres de sa famille. Au terme de la fiducie, le capital restant est payable à la MDS Foundation. Des déductions d'impôts et dégrèvements d'impôts sur les dons sont offerts pour la valeur restante qui passera à l'organisme de charité. Plus le terme de la fiducie est court, plus la déduction offerte est grande.

Étant donné qu'une FRB est exempte d'impôt sur le revenu, une personne peut y verser des actions significativement appréciées ou des biens immobiliers qui, s'ils étaient vendus, généreraient un imposant gain en capital imposable. La fiducie est alors capable de vendre les actions ou les biens immobiliers, sans qu'ils soient imposés. La réserve de fonds ainsi obtenue permet de générer un revenu pour le bénéfice du donateur et des membres de sa famille.

Conclusion

En intégrant le don planifié dans nos plans successoraux et financiers, nous pouvons tous participer à la lutte contre le SMD, tout en améliorant notre situation financière et celle de notre famille. Cela nous permet comme groupe de créer une base de financement pour soutenir la recherche en vue de vaincre la maladie. La MDS Foundation a à sa disposition des ressources et des experts pour répondre aux questions en matière de fiscalité et de planification successorale en lien avec les dons aux organismes de charité et ils seraient heureux de vous aider et de travailler avec vous et avec vos conseillers fiscaux et juridiques pour la mise sur pied d'un programme de don planifié.



Le programme **Les bases de l'espoir** est une initiative de défense des intérêts des patients qui propose une documentation imprimée et en ligne personnalisée pour les patients et leurs aidants afin qu'ils se préparent, qu'ils participent et **VIVENT** avec le SMD. Les couleurs utilisées pour *Les bases de l'espoir* incluent un bleu Tucson, un rouge Navajo et un beige Désert. Ces couleurs rappellent les paysages du Sud-Ouest américain, la splendeur du ciel nocturne sur les déserts sablonneux et les massifs montagneux à l'arrière plan. Les couleurs représentent l'accueil, la chaleur, la stabilité, la guérison, la passion et la protection. Ces couleurs forment la prémisse du logo du programme Les bases de l'espoir (ou BBOH, pour Building Blocks of Hope) conçu en forme de vague pour symboliser la fluidité de la vie, de la santé et de la maladie. La bande rouge qui suit la tige de la plante symbolise la force et l'amélioration de la fonction médullaire. La notion d'espoir en l'avenir et de prolongation de la vie est illustrée par la plante bourgeonnante.

Cette œuvre, intitulée Les bases de l'espoir, a été créée par Sandra Kurtin, infirmière praticienne et professeure adjointe de médecine clinique au Centre d'oncologie de l'Université de l'Arizona, membre du conseil de la MDS Foundation et indéfectible alliée des patients et des aidants qui **VIVENT** avec des cancers du sang. Le contenu a été rédigé en collaboration avec les membres du Conseil international d'excellence en soins infirmiers de la MDS Foundation et les membres du conseil d'administration de la MDS Foundation. Le soutien créatif et technique a été fourni par Adam Nichols et son équipe de la firme Markations. Le soutien au plan de l'organisation et des communications vient de Tracey Iraca, Sue Hogan et du personnel de la MDS Foundation. Les illustrations de la moelle osseuse sont l'œuvre de Kirk Moldoff.

Nous remercions particulièrement Bob Weinberg, William Pearson et Ryan Szanto qui ont offert un touchant témoignage de leur expérience en tant que patients atteints de SMD et Janet Pearson, aidante. Nous exprimons notre gratitude au comité de direction de la MDS Foundation, Peter Greenberg, M.D., Alan List, M.D., Stephen Nimer, M.D., Bob Weinberg et Pierre Fenaux, M.D., ainsi qu'à John Bennett, M.D. pour leur soutien indéfectible à la MDS Foundation. Merci aux chercheurs, aux professionnels de la santé et bénévoles qui continuent de travailler sans relâche à améliorer la vie des patients et des aidants touchés par le SMD. Aux nombreux patients qui ont participé et continuent de participer aux essais cliniques et qui nous ont permis de mieux comprendre et d'améliorer les stratégies thérapeutiques pour le SMD, ainsi qu'à leurs aidants nous ne serions sans contredit pas rendus où nous sommes sans votre généreux appui. Nous exprimons aussi notre gratitude à tous ceux qui nous ont aidés; vos contributions rendent possible le travail de la MDS Foundation et le soutien fourni aux patients et aux aidants touchés par le SMD. Un merci tout particulier à ma famille, qui comprend ma passion pour ce travail.

Nous espérons que ce projet fournira un outil utile aux professionnels de la santé qui travaillent avec des patients atteints de SMD et, plus important encore, nous espérons que *Les bases de l'espoir* donneront aux patients atteints de SMD et à leurs aidants le pouvoir de **VIVRE** avec le SMD.



Salutations distinguées,
Sandy Kurtin

