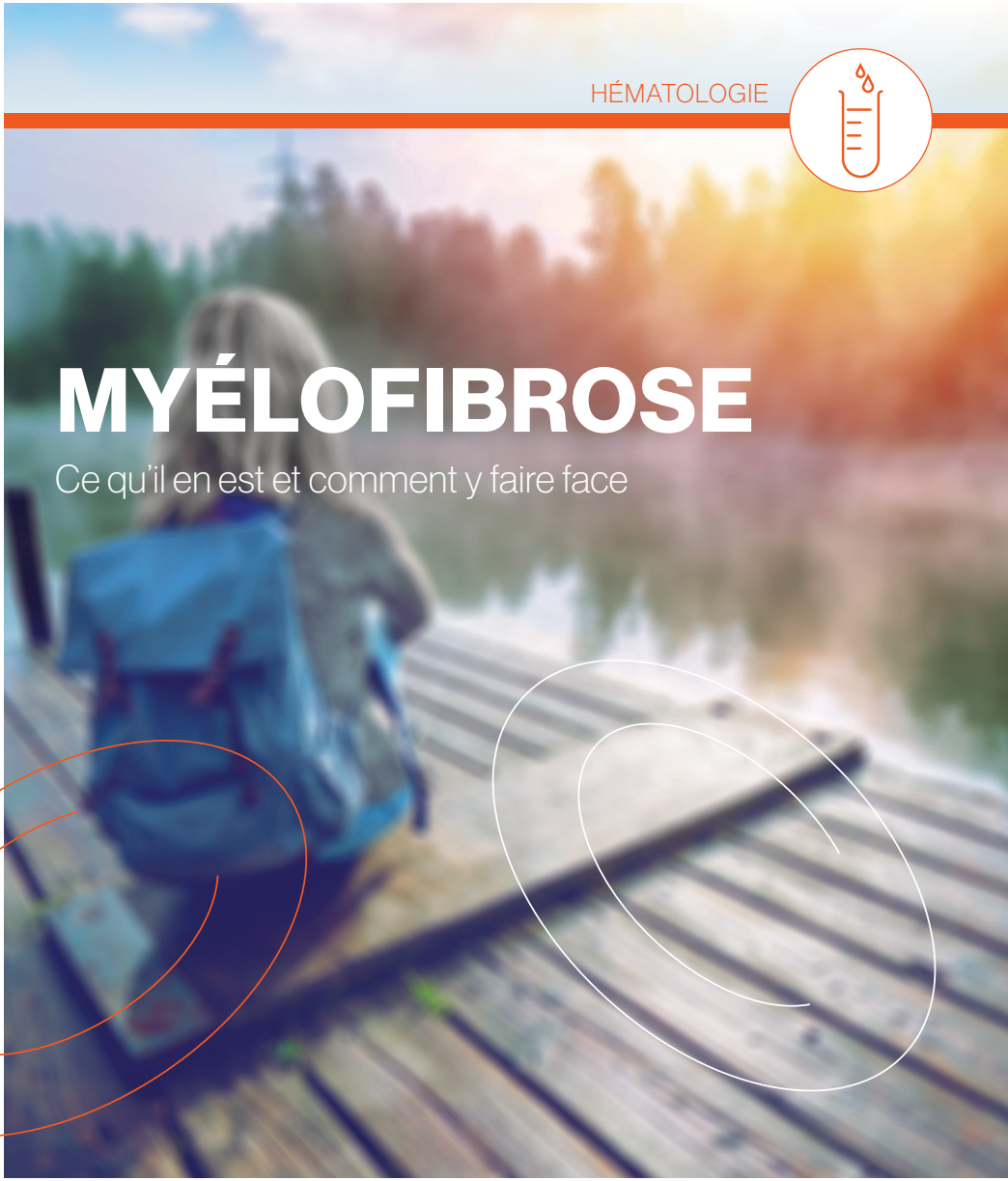
HÉMATOLOGIE



MYÉLOFIBROSE

Ce qu'il en est et comment y faire face

Sommaire

Avant-propos **4**

La maladie **6**
Qu'est-ce que la myélofibrose (MF)? 6
Pourquoi la myélofibrose est-elle dangereuse? 8
Comment la myélofibrose évolue-t-elle? 9
Conséquences possibles 10

Diagnostic **12**
Comment reconnaît-on une myélofibrose? 12

Symptômes **17**
Symptômes fréquents 17
Aperçu des troubles les plus fréquents 18
Complications possibles 21
Fiche de saisie des symptômes MPN-10 24

Traitement **26**
Les objectifs de votre traitement de la myélofibrose 26

Possibilités de traitement **28**

Quelles sont les options thérapeutiques de la myélofibrose? ... 28

Traiter les problèmes spécifiques 30

Qualité de vie **32**

Comment retrouver votre qualité de vie 32

Favoriser la compréhension:
quatre conseils pour impliquer la famille et les amis 36

Soutenir le traitement: trois recommandations pour
vos consultations chez le médecin 38

Glossaire **40**

Liens et adresses **42**

Chère patiente, cher patient,

Le diagnostic de myélofibrose suscite des incertitudes et surtout de nombreuses questions. En quoi consiste cette maladie rare? Comment se développe-t-elle? Quels sont les symptômes et les risques pouvant survenir? Et comment peut-on traiter cette maladie?

Cette brochure a pour but de de vous apporter des réponses scientifiquement fondées à ces questions importantes. En vous représentant clairement les risques de la myélofibrose ainsi que les possibilités de traitement, la maladie perdra certainement de son aspect menaçant, parce que vous saurez qu'il existe à l'heure actuelle des options efficaces pour son traitement médical.

Mais vous apprendrez aussi que vous pouvez également jouer un rôle dans le bon contrôle de votre maladie et mener une vie normale. Être attentif aux changements de votre état de santé et parler avec votre médecin de vos nouveaux symptômes vous aidera à garder la myélofibrose sous contrôle.

Nous espérons que cette lecture vous sera utile et vous souhaitons une bonne continuation!

Cette brochure a été élaborée grâce à l'aimable soutien des:

KD Dr méd. Axel Rüfer, hôpital cantonal de Lucerne
Dr méd. Nathan Cantoni, hôpital cantonal d'Aarau
Dr méd. Ilka Rüsges-Wolter, cabinet d'hématologie à Berne
Patients atteinte de la myélofibrose



KD Dr méd. Axel Rüfer, hôpital cantonal de Lucerne



Dr méd. Nathan Cantoni, hôpital cantonal d'Aarau



Dr méd. Ilka Rüsges-Wolter, cabinet d'hématologie à Berne (Hämatologie Praxis Bern)

Qu’est-ce que la myélofibrose (MF)?

La myélofibrose: une maladie rare affectant la moelle osseuse

On a diagnostiqué chez vous ou chez l’un de vos proches une maladie appelée myélofibrose (MF)? Vous savez donc peut-être déjà que la myélofibrose est une maladie chronique de la moelle osseuse. La myélofibrose peut se présenter soit comme une myélofibrose primaire (MFP), c’est-à-dire survenir sans aucune maladie préexistante directe, soit comme une conséquence de la polycythémie vraie (PV) ou de la thrombocytémie essentielle (TE), où elle est alors appelée myélofibrose secondaire.

La myélofibrose appartient au groupe des «maladies rares»: chaque année, environ une personne sur 100 000 tombe malade suite à des modifications de la moelle osseuse. Cette maladie touche surtout les personnes âgées: la myélofibrose est diagnostiquée en moyenne à l’âge de 65 ans. Au total, environ 90 % des personnes concernées ont plus de 46 ans. Les hommes, représentant environ 65 % des diagnostics, sont plus fréquemment touchés que les femmes.

Que se passe-t-il en cas de myélofibrose?

A l’heure actuelle, on ne connaît pas les causes exactes de la myélofibrose. Les experts supposent que la myélofibrose se développe suite à une modification des cellules souches dans la moelle osseuse. Cela a deux conséquences: la moelle osseuse hématopoïétique (en grec: myélo) est remplacée par du tissu conjonctif et elle devient fibreuse (fibrose).

Pourquoi du tissu fibreux se forme-t-il dans la moelle osseuse?

Les cellules hématopoïétiques renferment certains facteurs de croissance. Lorsque la moelle osseuse produit, de manière anormale, un trop grand nombre de cellules sanguines, cela libère également davantage de facteurs de croissance. Ces facteurs stimulent à leur tour les cellules de la moelle osseuse produisant le tissu conjonctif. Comme la quantité de tissu fibreux formé augmente, la fonction de la moelle osseuse devient de plus en plus limitée et de moins en moins de cellules sanguines matures et fonctionnelles sont formées.

La maladie est liée à une modification du nombre de cellules sanguines formées: au départ, ces cellules sont trop nombreuses (c'est la raison pour laquelle la myélofibrose appartient au groupe des néoplasies dites myéloprolifératives, NMP en abrégé). Ensuite, à mesure que la fibrose progresse, la production de cellules diminue.

Anomalies génétiques – origine potentielle de la myélofibrose

Une modification génétique (mutation) sur le chromosome 9 peut jouer un rôle dans le développement de la myélofibrose. La mutation dite JAK2 est la modification génétique d'une enzyme appelée Janus kinase (JAK). Ces enzymes sont des protéines contrôlant des processus biochimiques.
L'enzyme agit normalement comme un «commutateur» pour la multiplication des cellules, pouvant être activé ou désactivé alternativement selon les besoins. Cependant, suite à la modification génétique des Janus kinases, ce «commutateur» est constamment activé. Il en résulte une surproduction de cellules sanguines.
La mutation est présente chez près de la moitié des personnes souffrant de myélofibrose. On ne sait pas encore à l'heure actuelle s'il existe un lien direct entre cette mutation et la myélofibrose. Tous les patients atteints de MFP ne présentent pas une mutation JAK2. 20 à 30 % des patients atteints de MF présentent une mutation de la calréticuline (CALR) et 5 à 10 % une mutation du récepteur de la thrombopoïétine (MPL). Cependant, certains patients ne sont porteurs d'aucune des trois mutations mentionnées ci-dessus.

Fonctionnement des commutateurs JAK1/2

Personne en bonne santé
Fonction JAK normale

Fonction de commutation normale



Production normale de cellules sanguines

Patient atteint de MF
Hyperactivation des JAK

Commutateur toujours sur «on»





Surproduction de cellules sanguines

Pourquoi la myélofibrose est-elle dangereuse?

Le risque est différent selon les patients

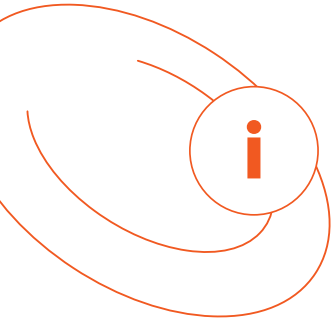
La myélofibrose est une maladie à progression constante. Son évolution dépend du degré de progression de la fibrose de la moelle osseuse ainsi que de vos facteurs de risque individuels (voir glossaire p. 40) au moment du diagnostic. La myélofibrose peut donc se manifester différemment d'une personne à l'autre.

Selon vos facteurs de risque personnels, vous appartenez à l'un des quatre groupes de risque définis par les experts (voir glossaire p. 40).

Évolution en leucémie myéloïde aiguë

Chez une partie des patients atteints de myélofibrose (jusqu'à 10 %), la maladie peut évoluer en une autre maladie de la moelle osseuse, comme la leucémie myéloïde aiguë.

Aiguë signifie que ce type de maladie est grave et évolue rapidement. Contrairement aux formes chroniques de leucémies, les formes aiguës sont fatales en quelques semaines ou quelques mois si elles ne sont pas traitées.



Ce que vous pouvez faire

Afin de reconnaître et de traiter à temps des complications telles que la leucémie myéloïde aiguë, il est important que votre médecin surveille régulièrement l'évolution de la maladie.

Comment la myélofibrose évolue-t-elle?

Phase précoce: les cellules sanguines se multiplient

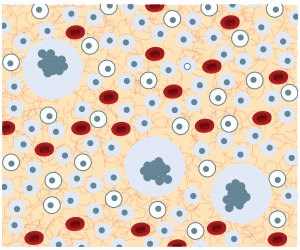
Dans la phase précoce de la maladie, la formation de cellules sanguines augmente. Lors de la myélofibrose, ce sont principalement les plaquettes sanguines (thrombocytes) et les globules blancs (leucocytes) qui sont affectés par la surproduction. Selon le type de cellules sanguines concernées, ces changements dans le sang sont appelés:

- **Thrombocytose:** augmentation du nombre de plaquettes sanguines (thrombocytes)
- **Leucocytose:** augmentation du nombre de globules blancs (leucocytes)

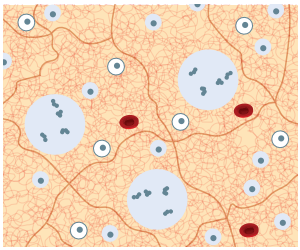
Au début de la myélofibrose, la formation du sang se fait encore principalement dans la moelle osseuse, largement fonctionnelle à ce moment-là. Au cours de cette phase précoce, le volume de la rate peut déjà augmenter, car celle-ci est impliquée dans la dégradation des cellules sanguines produites en excès.

Phase avancée: trop peu de cellules sanguines et des problèmes physiques

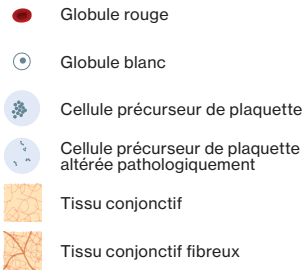
Lors de la phase avancée, la moelle osseuse hématopoïétique est remplacée en grande partie par du tissu conjonctif et devient fibreuse (fibrose). Par conséquent, la moelle osseuse produit de moins en moins de cellules sanguines. Cela touche tous les types de cellules sanguines, mais principalement les globules rouges et les plaquettes et moins souvent les globules blancs.



Moelle osseuse normale



Moelle osseuse dans la myélofibrose



Conséquences possibles

Anémie – un manque de globules rouges

La diminution du nombre de globules rouges entraîne une anémie, qui se manifeste par des symptômes tels que fatigue et baisse des performances physiques. Une anémie peut également se développer aux stades précoces de la myélofibrose. Cependant, elle est alors généralement moins prononcée et ne cause souvent que peu ou pas de problèmes physiques. Plus l'anémie progresse, plus les symptômes deviendront perceptibles.

Moins de plaquettes – augmentation de la tendance aux saignements

Dans la phase avancée de la myélofibrose, la coagulation du sang est perturbée lorsque les plaquettes ne sont plus assez nombreuses. Des petites blessures peuvent alors être à l'origine de saignements importants et de longue durée.

Splénomégalie – augmentation du volume de la rate

Lorsque la formation du sang se déplace graduellement de la moelle osseuse vers la rate et le foie, ces deux organes grossissent de plus en plus à mesure que la myélofibrose progresse. L'augmentation du volume de la rate est appelée splénomégalie. L'augmentation du volume du foie est appelée hépatomégalie. Dans la phase avancée, la rate est souvent très volumineuse et peut causer des douleurs dans la partie supérieure de l'abdomen. Il est également possible que la rate devienne si grande et qu'elle prenne la place d'autres organes tels que l'estomac et les intestins. Cela peut avoir des effets négatifs sur l'alimentation et la digestion.



Comment reconnaît-on une myélofibrose?

La myélofibrose – souvent discrète au début

Votre diagnostic de myélofibrose a peut-être été posé à un stade déjà avancé. En effet, comme dans la phase initiale, les symptômes sont généralement absents, les médecins diagnostiquent très souvent la myélofibrose lorsque la maladie est déjà bien avancée.

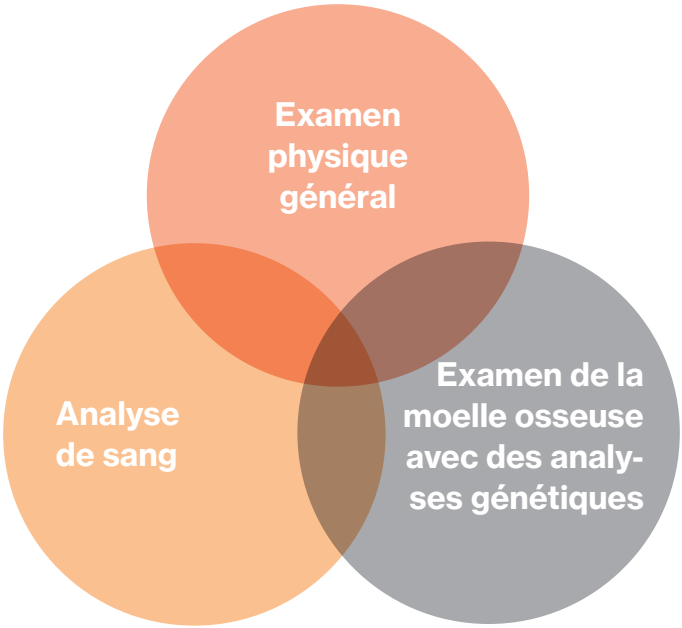
- Même si de graves complications vasculaires telles que des thromboses surviennent avant le diagnostic, de nombreux médecins penseront d'abord à d'autres éléments déclencheurs plus courants.
- Des symptômes comme la fatigue et la perte de poids, qui poussent la personne concernée à se rendre finalement chez le médecin, ne se manifestent en général que dans la phase avancée.
- Parfois, le médecin découvre les premiers signes de la myélofibrose par hasard lors d'un examen de routine. Dans ces cas-là, ce sont des valeurs sanguines de laboratoire inhabituelles qui attirent son attention. Une thrombocytose ou une anémie, mais également une hypertrophie de la rate peuvent être des signes de myélofibrose.

Trois éléments pour diagnostiquer la myélofibrose

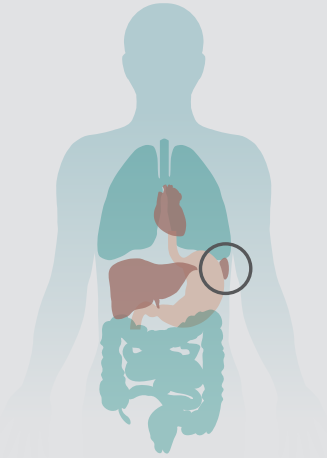
En cas de suspicion de myélofibrose, votre médecin effectuera les examens suivants: un examen physique général avec une anamnèse médicale détaillée (c'est-à-dire comportant des questions sur vos antécédents médicaux), une numération et formule sanguine, un examen de la moelle osseuse avec des analyses génétiques.

L'examen général: signes importants de myélofibrose

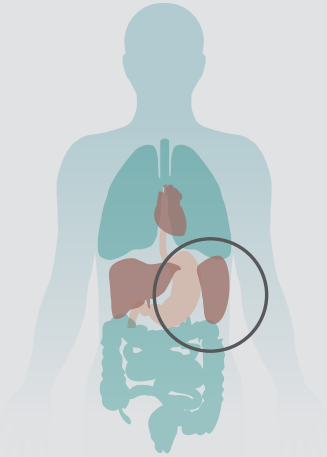
Si votre médecin soupçonne une myélofibrose, il vous demandera si vous souffrez des symptômes typiques de cette maladie. Des saignements fréquents, comme des saignements du nez ou une anémie ainsi que la pâleur et la faiblesse physique qui y sont associées, peuvent indiquer une myélofibrose. Toutefois, ces symptômes sont également présents dans de nombreuses autres maladies.



Examen physique général	Splénomégalie ou hépatomégalie
	Anémie
	Symptômes constitutionnels (p. ex. fatigue)
	Thromboses ou signes de saignement
Analyse de sang	Nombre et forme des différents types de cellules sanguines (en particulier des globules rouges, des globules blancs et des plaquettes)
Examen de la moelle osseuse avec des analyses génétiques	Examen de la moelle osseuse - Nombre/aspect des cellules hématopoïétiques/atypies - Détermination du degré de fibrose - Coloration du fer
	Analyses génétiques moléculaires (en utilisant du sang ou de la moelle osseuse) - Modifications génétiques (p. ex. JAK2, CALR ou MPL)



Rate saine



Rate hypertrophiée

Examen pour la splénomégalie

Si votre médecin soupçonne une myélofibrose, il vérifiera également lors d'un examen physique la présence d'une **hypertrophie de la rate** (splénomégalie). Le foie peut également être hypertrophié.

Le médecin fait une première évaluation en palpant l'abdomen. Un examen par échographie permet de déterminer la taille exacte de la rate.

Les thromboses actuelles ou passées peuvent également être une indication de myélofibrose. Une anémie et une hypertrophie de la rate peuvent survenir autant dans la phase précoce où la moelle osseuse n'est que légèrement fibreuse (myélofibrose préfibrotique) que dans la phase avancée où la moelle osseuse est plus fibreuse (myélofibrose fibrotique).

Des examens complémentaires sont nécessaires pour établir avec certitude le diagnostic de myélofibrose. Il s'agit notamment de l'examen de la moelle osseuse et des analyses génétiques.

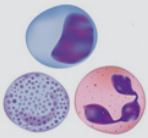
Le premier soupçon de myélofibrose se fonde sur la numération et formule sanguine

Lors de l'analyse de sang (numération et formule sanguine), il est possible de déterminer, entre autres, si le nombre et la forme des cellules sanguines sont modifiés. L'altération de certaines cellules sanguines peut indiquer une myélofibrose.

- Dans la phase précoce de la myélofibrose, les plaquettes sanguines (thrombocytes) sont particulièrement touchées. En général, le nombre de globules blancs (leucocytes) est également plus élevé.
- Dans la phase avancée de la myélofibrose, le nombre de cellules sanguines détectées est trop faible et leur fonction est souvent perturbée. Cet état de fait concerne non seulement les plaquettes sanguines et les globules blancs, mais également les globules rouges (érythrocytes). Un manque de globules rouges peut entraîner une anémie, qui se manifeste par exemple par une baisse des performances physiques.
- Les globules rouges subissent d'autres modifications dues au trouble de la formation du sang, affectant par exemple leur forme. Ainsi, lors de l'analyse du sang, la forme de certains globules rouges n'est plus ronde, mais en forme dite de «goutte d'eau». La myélofibrose peut également modifier l'apparence des autres cellules sanguines.
- La myélofibrose se traduit souvent par des taux élevés de LDH dans le sang. La LDH (lactate déshydrogénase) est une enzyme permettant certains processus dans le métabolisme cellulaire. L'augmentation des taux de LDH indique, entre autres, des lésions d'organes spécifiques, comme la rate et le foie.



Globules rouges:
Transport de l'oxygène



Globules blancs:
Défense contre les infections
Inflammation



Plaquettes sanguines:
Coagulation sanguine

La ponction de moelle osseuse

La moelle osseuse est habituellement prélevée au niveau de la crête iliaque. Cet examen est réalisé afin de déterminer la densité cellulaire et les types de cellules. L'architecture de la moelle osseuse est également évaluée.



Pourquoi l'examen de la moelle osseuse est-il si important?

La numération et formule sanguine ainsi que les symptômes physiques de la myélofibrose peuvent être très similaires à ceux d'autres maladies myéloprolifératives. Par conséquent, un examen de la moelle osseuse est nécessaire pour confirmer le diagnostic.

Au cours de cet examen, le médecin prélève un échantillon de tissu de la moelle osseuse et le fait examiner au microscope en laboratoire. La moelle osseuse est habituellement prélevée au niveau de l'os du bassin. Des analgésiques et/ou des sédatifs peuvent être administrés pour la ponction.

En laboratoire, en utilisant des colorants, il est possible de déterminer si la moelle osseuse s'est modifiée et si l'on observe déjà une prolifération du tissu conjonctif (formation de tissu fibreux, également appelée fibrose).

Les différentes formes de maladies myéloprolifératives présentent chacune un aspect différent au niveau du tissu de la moelle osseuse. Par conséquent, le médecin peut la plupart du temps déterminer avec certitude s'il s'agit bien d'une myélofibrose.

Symptômes fréquents

Symptômes de la myélofibrose – ils apparaissent parfois seulement après des années

Si vous êtes atteint de myélofibrose, vous n'êtes probablement pas en mesure de dire exactement à quel moment votre maladie a commencé. En effet, la myélofibrose commence généralement de manière insidieuse. Les premiers changements peuvent être détectés dans le sang dès la phase précoce. Cependant, les problèmes physiques ne sont généralement pas encore présents et ne se manifestent dans la plupart des cas que bien des années plus tard.

Les symptômes dépendent donc de la phase de la maladie dans laquelle vous vous trouvez, plus précisément du degré de progression de la fibrose de la moelle osseuse.

De la fatigue chronique aux sueurs nocturnes: limitations dans la vie quotidienne

Avez-vous déjà ressenti des symptômes physiques de la myélofibrose? De nombreuses personnes souffrent de fatigue chronique et de sueurs nocturnes. Après plusieurs années, de nombreux patients se plaignent davantage d'une sensation de satiété précoce ainsi que de douleurs abdominales et osseuses. Tous ces symptômes, également appelés symptômes constitutionnels, sont liés à la maladie et peuvent généralement être traités.

Aperçu des troubles les plus courants



Fatigue intense



Globules rouges normaux



Moins de globules rouges



Une forte consommation d'énergie entraîne de la fatigue



Fièvre



Des substances messagères sont libérées par le système immunitaire



Réaction inflammatoire dans l'organisme



La fièvre se manifeste



Problèmes de concentration



Libération de substances messagères



Développement d'inflammations



Problèmes de concentration



Inactivité



Fatigue et mauvaise humeur



Apathie et manque d'énergie



On est moins actif



Sueurs nocturnes



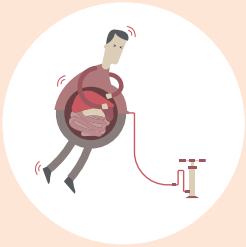
Des substances messagères sont libérées par le système immunitaire



Réaction inflammatoire dans l'organisme



Transpiration excessive la nuit



Douleurs abdominales



La moelle osseuse produit moins de cellules sanguines à cause de la formation de tissu fibreux



La rate et le foie prennent le relais de la formation du sang, ce qui peut les faire grossir



La pression sur l'estomac est à l'origine de l'inconfort



Douleurs osseuses



Multiplication des cellules osseuses



Le périoste (enveloppe des os) est dilaté



Cela engendre des douleurs



Sensation rapide de satiété lors du repas



La rate produit des cellules sanguines



La rate grandit et appuie sur l'estomac



Vous êtes déjà rassasié(e) après de petites portions



Ce que vous pouvez faire

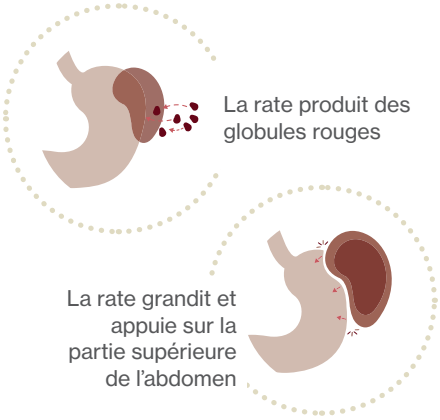
Si vous souffrez de myélofibrose, il est important de documenter tous vos symptômes et d'informer votre médecin de vos symptômes et de leur évolution. Le médecin ne peut pas déterminer l'intensité des symptômes que vous ressentez à partir des seules valeurs sanguines et de la taille de la rate.

La *fiche de saisie des symptômes MPN-10* est très utile à cette fin. Remplissez régulièrement cette fiche et prenez-la avec vous lors de votre prochaine visite chez le médecin.

Complications possibles

Hypertrophie de la rate – conséquences et symptômes

Lorsque la moelle osseuse devient fibreuse et que sa capacité à former de nouvelles cellules sanguines n'est plus suffisante, la rate peut prendre le relais. Dans les phases avancées de la myélofibrose, cela peut entraîner une hypertrophie (augmentation du volume) de cet organe. La rate peut se dilater dans des proportions importantes et ainsi prendre la place d'autres organes dans la cavité abdominale et nuire à leur fonction.



L'hypertrophie de la rate peut également renforcer sa fonction de dégradation de toutes les cellules sanguines, contribuant ainsi à abaisser leurs taux sanguins. Selon les cellules sanguines affectées, cela se traduit par le développement d'une anémie, l'augmentation de la tendance aux saignements ou de la sensibilité aux infections.

Les patients atteints de splénomégalie développent souvent les symptômes suivants:

- Nausée, sensation de satiété
- Douleurs abdominales dues à la pression de la rate sur d'autres organes
- Anémie, pâleur
- Fatigue et faiblesse générale

Anémie: lorsque la formation du sang diminue

Votre médecin parle d'anémie lorsque le nombre de globules rouges ou la quantité de colorant rouge du sang (l'hémoglobine) tombe en dessous de la valeur normale. L'hémoglobine, un composant important des globules rouges, est responsable du transport de l'oxygène dans l'organisme.

En principe, l'anémie survient déjà au stade précoce de la myélofibrose. À ce stade, elle est cependant généralement peu prononcée et ne donne lieu qu'à peu ou pas de symptômes. Les symptômes tels que la fatigue et la baisse des performances physiques n'apparaissent que plus tardivement.

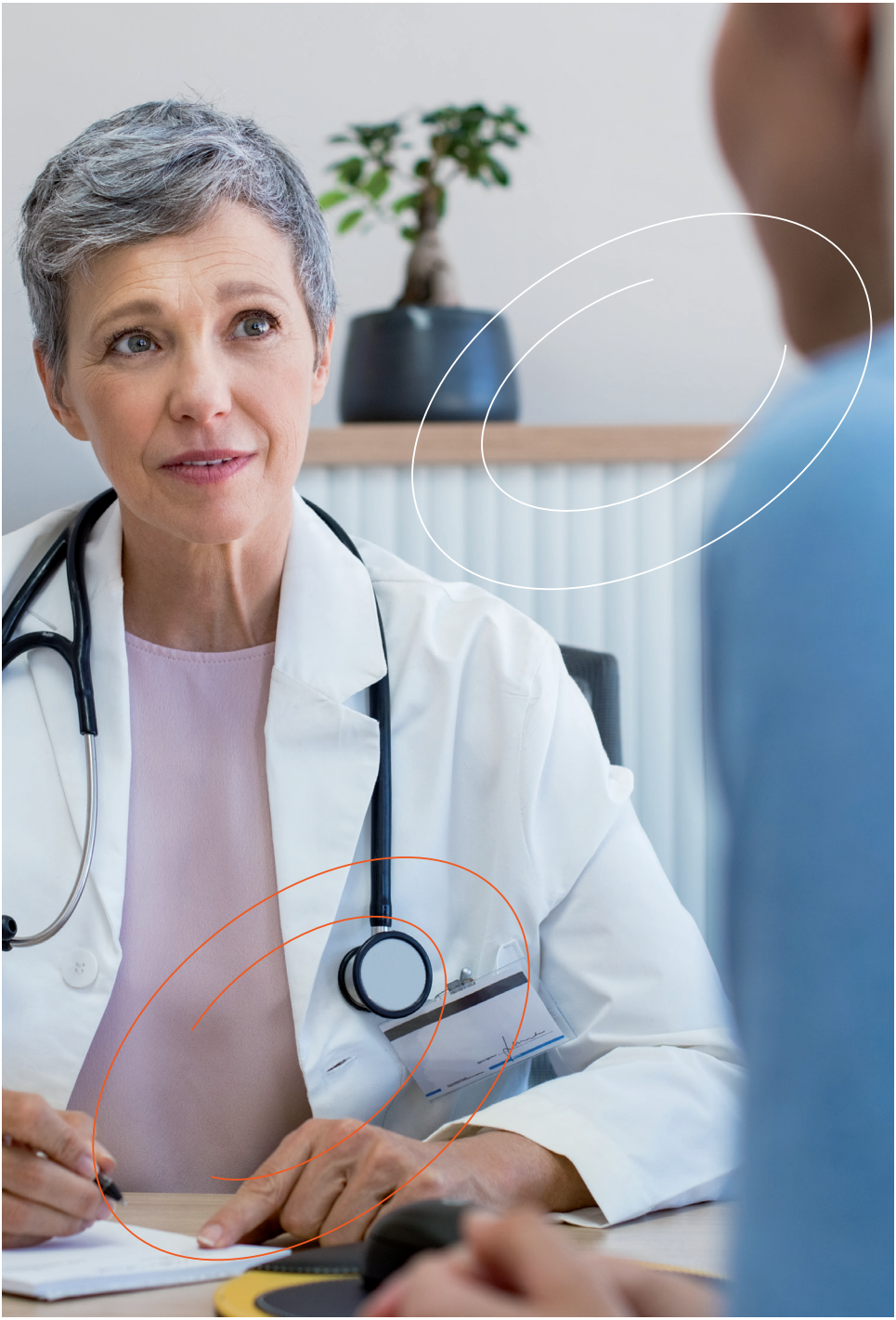
En général, une anémie peut avoir plusieurs origines. Dans le cas de la myélofibrose, l'anémie est liée à la perturbation de la formation du sang. Lorsque la moelle osseuse hématopoïétique est remplacée par du tissu conjonctif, la formation du sang ne peut plus se faire de manière suffisante.

La conséquence: de moins en moins de cellules sanguines sont produites. Cela concerne plus particulièrement les globules rouges et les plaquettes. Le manque de globules rouges finit par entraîner une anémie.

Augmentation du risque de saignement: trop peu de plaquettes

Dans la phase avancée, tardive, de la myélofibrose, le nombre de plaquettes sanguines (thrombocytes) est souvent trop bas. Ces dernières étant nécessaires à la coagulation du sang, il en résulte une augmentation de la tendance aux saignements: en raison du manque de plaquettes, même les plus petites blessures peuvent provoquer des saignements importants. Ce manque de plaquettes sanguines est appelé thrombocytopénie.

En outre, une augmentation de la tendance aux saignements se manifeste souvent par des saignements de la taille d'une tête d'épingle sur la peau et les muqueuses (pétéchies) ainsi que par des ecchymoses (hématomes) ou des saignements soudains du nez. Ces manifestations apparaissent en général lorsque le nombre de plaquettes sanguines a fortement diminué.



Fiche de saisie des symptômes MPN-10

La fiche de saisie des symptômes MPN-10 pour documenter votre état de santé

La fiche de saisie des symptômes MPN-10 vous aide à reconnaître, répertorier, évaluer et documenter les symptômes de votre maladie, de manière systématique, à l'attention de votre médecin.

Développée par des experts spécifiquement pour les néoplasies myéloprolifératives (NMP, en anglais: Myeloproliferative Neoplasm, MPN), elle est conçue pour vous montrer, à vous et à votre médecin, **dans quelle mesure votre traitement actuel est efficace** et à quel point les symptômes affectent beaucoup (ou peu) votre vie quotidienne.

À cette fin, les experts ont répertorié les dix symptômes les plus courants des maladies NMP. L'évaluation s'effectue sur une échelle de 0 à 10, où le **0 signifie «absent»** et le **10 correspond à la «pire intensité imaginable».** Cette échelle vous permet d'évaluer très précisément la gravité de vos symptômes et de suivre leur évolution en comparant l'ensemble des valeurs sur la semaine.

Contactez votre médecin si vous remarquez une aggravation des symptômes.

MPN TRACKER

Enregistrement des symptômes également possible en ligne (web app), avec représentation graphique dans le temps et téléchargement des résultats:

Scannez le code QR ou consultez le site Web:
https://ch.mpn.your-symptom-questionnaire.com

Il est préférable de remplir le formulaire **régulièrement** ou en accord avec votre médecin traitant, ou au moins avant de vous rendre à la visite chez votre médecin. Inscrivez la **date et votre nom.**

Cochez d'abord le **degré d'intensité de l'épuisement (fatigue)** au cours des dernières 24 heures.

MPN10 KNOW YOUR SCORE

Nom: _____

Date: _____

La fiche d'évaluation des symptômes MPN10 vous aide à identifier la gêne occasionnée par les symptômes de votre Syndrome Myéloprolifératif (MPN) et à assurer un suivi actif.

Veuillez évaluer votre fatigue en cochant le chiffre qui décrit le mieux votre PIRE état de fatigue pendant **ces dernières 24 heures:**

	pas de fatigue									pire imaginable
Fatigue	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10

Cochez le chiffre qui décrit le degré de difficulté que vous avez eu pour chacun des symptômes suivants pendant **les derniers 7 jours:**

	absente									pire imaginable
Eprouvez-vous rapidement la sensation de satiété? (d'avoir assez mangé)	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Inconfort abdominal	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Inactivité (le fait de ne pas pouvoir faire vos activités habituelles ou celles que vous aimeriez faire)	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Problèmes de concentration (à cause de votre Syndrome Myéloprolifératif)	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Sueurs nocturnes	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Démangeaisons (prurit)	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Douleurs osseuses (concerne uniquement les douleurs diffuses dans tous les os, pas les douleurs localisées des articulations, d'arthrite ou de rhumatismes)	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
Perte de poids involontaire au cours des 6 derniers mois	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10
	absente									quotidienne
Fièvre (à plus de > 37,8 °C)	0	1	2	3	4	5	6	7	8	9	10

Evaluez votre score de symptômes MPN10 pour obtenir une vue d'ensemble de la gêne occasionnée par les symptômes de MPN, [illegible] pour chaque symptôme

TOTAL 0

Cochez le **degré d'intensité de vos autres symptômes** au cours de la semaine précédente.

Déterminez le **score total des symptômes** en additionnant les différentes valeurs.

Les objectifs de votre traitement de la myélofibrose

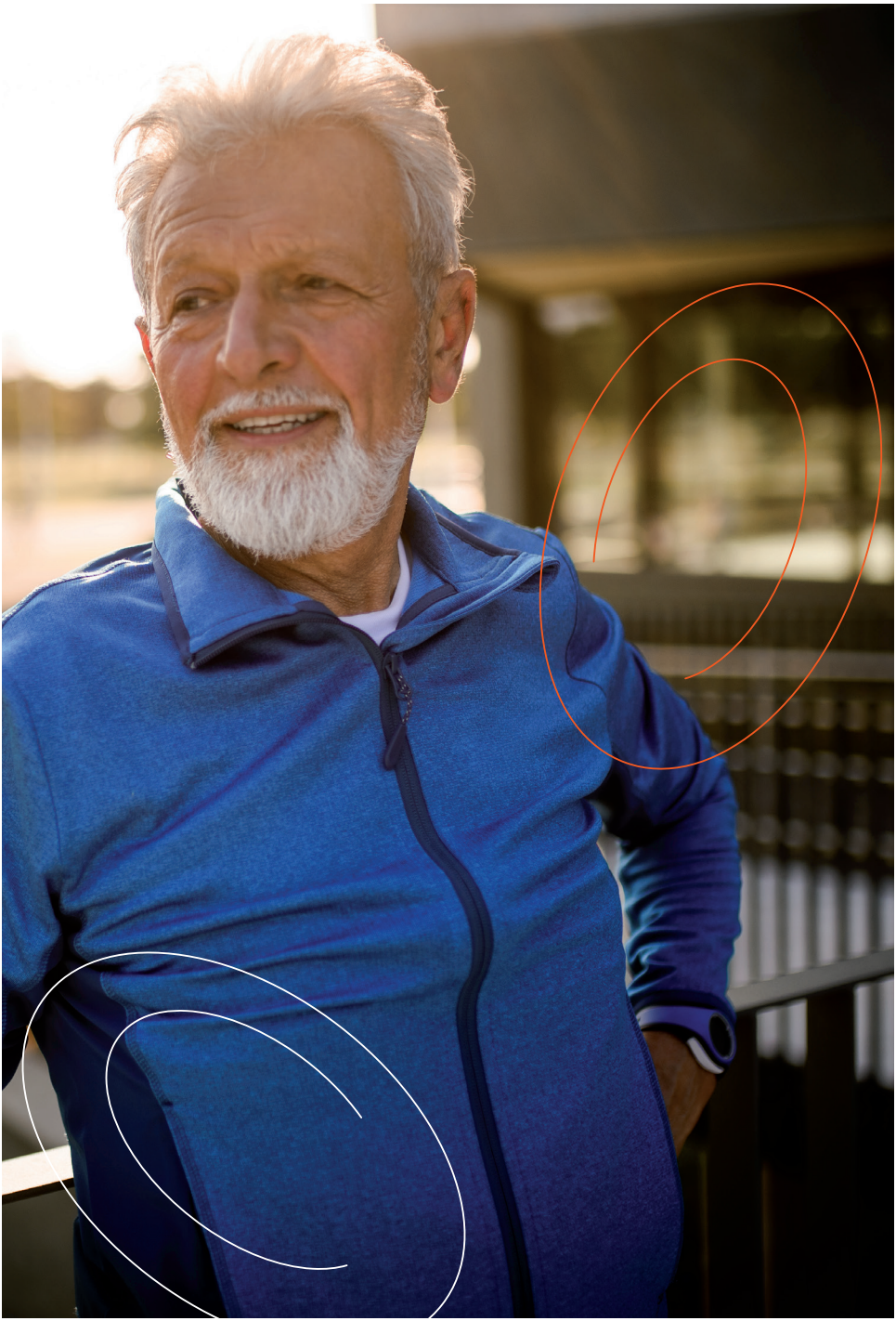
L'objectif thérapeutique dépend de votre tableau clinique

Existe-t-il des recommandations de traitement scientifiquement fondées? Oui, car les directives médicales font des recommandations thérapeutiques qui aident votre médecin à traiter la myélofibrose. Selon vos symptômes et votre risque personnel, il existe deux objectifs thérapeutiques de base:

- **Objectif curatif:**
  Dans ce cas, le traitement vise à guérir la myélofibrose. Jusqu'à présent, dans le cas de la myélofibrose, le seul traitement permettant d'y parvenir est ce que l'on appelle la transplantation allogénique de cellules souches. Le terme allogénique signifie que le tissu transplanté provient d'un donneur. Ce traitement, très intensif, n'est pas envisageable pour la grande majorité des patients, en raison de leur âge et de leurs maladies concomitantes.

- **Objectif palliatif:**
  Si votre maladie ne peut pas être guérie par une greffe de cellules souches, votre médecin vous proposera le meilleur traitement possible pour soulager vos symptômes ainsi que pour améliorer votre qualité de vie et votre espérance de vie.

Les objectifs thérapeutiques définis par votre médecin dépendent de vos symptômes ainsi que de vos maladies concomitantes. Un nombre trop élevé de globules blancs ou de thrombocytes, une splénomégalie (augmentation du volume de la rate), une anémie ou un faible taux de plaquettes sanguines peuvent influencer le choix des objectifs thérapeutiques.



Quelles sont les options de traitement de la myélofibrose?

Des mesures ciblées pour chaque patient

En fonction de la gravité spécifique à votre maladie, votre médecin prendra des mesures ciblées. Ces mesures dépendent de vos besoins personnels:

- si vous n'avez pas de symptômes de la maladie, l'objectif majeur est de surveiller l'évolution de la maladie (surveiller et attendre),
- si vous avez des symptômes ou si vous avez une hypertrophie de la rate, vous recevrez des médicaments pour soulager les symptômes ou pour réduire la taille de la rate,
- si vous avez des problèmes spécifiques (production excessive de cellules sanguines, anémie, carence en plaquettes), vous aurez un traitement spécifique,
- il est aussi envisageable de penser à un traitement (curatif) par une greffe allogénique de cellules souches.



Traitements des problèmes spécifiques

Des options thérapeutiques supplémentaires sont également disponibles en cas de problèmes fréquemment associés à la myélofibrose. Vous trouverez ci-dessous un aperçu de ces traitements.

Taux élevé de cellules sanguines: hydroxyurée (HU)

L'hydroxyurée peut être utilisée au cas où une augmentation du nombre de cellules sanguines a été mise en évidence chez vous. Elle agit en inhibant une enzyme, qui limite la formation de nouvelles cellules (agent cytostatique). L'hydroxyurée peut ainsi réduire le risque de formation de caillots sanguins, c'est-à-dire de thrombose.

Anémie: transfusions, érythropoïétine et cortisone

L'hémoglobine (colorant rouge du sang) est un composant important des globules rouges, qui est responsable du transport d'oxygène. Lorsque la myélofibrose évolue, de moins en moins de cellules sanguines sont produites. Par conséquent, la quantité d'hémoglobine diminue au fur et à mesure que les globules rouges diminuent, entraînant fréquemment une anémie. On peut traiter l'anémie par différents moyens, comme des transfusions, de l'érythropoïétine (EPO) et des corticostéroïdes (cortisone).

Mesures en présence d'hypertrophie de la rate

Actuellement, les inhibiteurs JAK2 sont utilisés pour traiter une hypertrophie de la rate. Ce sont des médicaments qui inhibent spécifiquement certains signaux dans les cellules. Ils bloquent l'activité de certaines enzymes, selon la maladie, de sorte que celles-ci ne transmettent à la cellule le signal pour se diviser que de manière limitée. Ce n'est que lorsque ce traitement ne fonctionne pas ou pas suffisamment ou alors si des problèmes surviennent que l'on peut envisager une radiothérapie ou une ablation chirurgicale de la rate (splénectomie).

- **Splénectomie** – l'ablation de la rate comporte des risques tels que des hémorragies secondaires, des infections et le développement de thromboses, car la rate participe à la dégradation des petits caillots sanguins. Par conséquent, cette intervention n'est pratiquée que très rarement.

- **Irradiation de la rate** – cette procédure peut diminuer quelque peu le volume de la rate. Cependant, le tissu détruit se reforme au bout de quelques mois. Des irradiations supplémentaires réalisées à intervalles réguliers permettent de contrecarrer cette tendance. Mais ce traitement n'est que très rarement réalisé de nos jours.

Ce qui se passe en cas de transplantation allogénique de cellules souches

La transplantation allogénique de cellules souches est une mesure thérapeutique de grande ampleur, où les propres cellules souches sanguines malades de l'organisme sont remplacées par des cellules saines provenant d'un donneur. Les transplantations ne sont généralement recommandées que très rarement, car, en plus d'un risque élevé d'effets secondaires potentiellement mortels, il existe également un risque que les nouvelles cellules souches attaquent des tissus sains de votre corps.

La première étape de préparation à une transplantation consiste en une chimiothérapie ou une radiothérapie. Une transplantation est une option envisageable chez des patients jeunes mais uniquement quand la maladie est déjà bien avancée ou si le patient présente des caractéristiques de risque élevé.

Comment retrouver votre qualité de vie

Prêtez attention aux changements

Comment évalueriez-vous votre état général? Comment évaluez-vous votre bien-être physique? Qu'en est-il de votre indépendance dans la vie quotidienne? Vous sentez-vous prêt(e) à faire face à vos contacts sociaux? Ce sont précisément ces impressions personnelles qui déterminent votre qualité de vie: votre qualité de vie n'est rien d'autre que votre «bilan du bien-être» personnel.

La myélofibrose influence de nombreux aspects de votre bien-être. Il est donc important que vous gardiez un œil sur les changements induits par la maladie dans votre vie quotidienne, mais aussi que vous examiniez ce qui va bien (possibilités positives).

Observez de manière consciente:

- si vous ressentez des changements par rapport à votre état et dans quelle mesure,
- ce qui contribue à votre bien-être et ce qui n'y contribue pas,
- si vous remarquez d'éventuels effets secondaires ou des symptômes.



Ce que vous pouvez faire

Tenir un *journal* vous aide à rassembler vos expériences positives et connaissances ainsi qu'à consigner les *changements survenus dans votre état de santé*. Ces informations sont également importantes pour votre médecin afin d'évaluer le statut de votre maladie.

Ce que vous pouvez faire

Discutez avec votre médecin, votre physiothérapeute ou votre thérapeute sportif de vos possibilités de faire régulièrement de l'exercice physique ou du sport, des types de sports et d'activités que vous pouvez faire et de la fréquence à laquelle vous pouvez les faire.

Ce que l'activité physique peut faire bouger pour vous

L'activité physique a de nombreux effets positifs sur votre état général et est recommandée par les médecins, même après des maladies encore plus graves, pendant la phase de rééducation. En tant que patient atteint de polycythémie vraie, l'activité physique est bénéfique pour vous à plusieurs niveaux:

- Elle améliore la circulation sanguine et réduit le risque de thrombose
- Il a été démontré que faire de l'exercice diminue le risque de crise cardiaque et d'accident vasculaire cérébral
- L'effort physique favorise la circulation sanguine et donc l'apport d'oxygène à l'organisme
- Un entraînement modéré permet de soulager la fatigue et l'abattement
- L'exercice peut également avoir une influence positive sur la fatigue chronique présente en cas de polycythémie vraie
- Le sport permet d'améliorer l'humeur, car il stimule la libération d'endorphines
- Un entraînement régulier augmente la confiance en soi et favorise l'estime de soi
- Lors de polycythémie vraie, les sports d'endurance tels que la randonnée et la marche nordique sont particulièrement adaptés pour améliorer vos performances physiques

Se relaxer aide à accepter les choses plus facilement

Les maladies chroniques sont lourdes à porter; elles sont à l'origine d'incertitudes et, par conséquent, d'inquiétude et de craintes. En bref, elles entraînent du stress. Des techniques de relaxation ayant fait leurs preuves vous aident à mieux faire face aux conséquences du stress et à retrouver ainsi une meilleure qualité de vie. En vous relaxant régulièrement, vous pouvez avoir une influence notable:

- sur les tensions et les crampes,
- sur les manifestations de l'épuisement,
- sur les perturbations de la concentration et de la mémoire.

Voici un bref aperçu des méthodes de relaxation les plus connues, pour lesquelles il existe un éventail assez large d'informations et de cours:

- **Le training autogène –**
  favorise la relaxation physique et mentale grâce à des représentations par l'autosuggestion
- **La méditation –**
  procure le calme intérieur et favorise la concentration
- **La relaxation musculaire progressive –** repose sur la contraction et le relâchement de certains groupes musculaires
- **La visualisation –**
  apaise par la représentation d'environnements et de situations positives
- **Le yoga –**
  allie forme physique et éléments méditatifs pour plus de sérénité

Une alimentation saine suit des règles simples

L'état nutritionnel joue un rôle important, tout particulièrement lors de maladies chroniques. Avec un apport adéquat en nutriments, vous contribuez au maintien de vos fonctions physiques et mentales et à la prévention de manifestations dues à des carences alimentaires. Inversement, on sait que les patients dont les besoins énergétiques et nutritionnels ne sont pas couverts sont souvent moins performants et que leur qualité de vie diminue.

L'effet bénéfique d'une alimentation équilibrée et saine a été observé dans le cadre de nombreux traitements. Cependant, vous n'avez pas besoin de chercher un régime alimentaire spécial pour votre maladie, car il n'en existe pas!

Si vous n'avez pas de problèmes particuliers lorsque vous mangez et buvez, il est recommandé d'adopter une alimentation normale, bénéfique également pour les personnes en bonne santé. Cette alimentation suit des directives faciles à comprendre et laisse une grande place aux goûts personnels.



Ce que vous pouvez faire

Informez-vous grâce aux conseils de la Société Suisse de Nutrition au sujet d'une alimentation saine et équilibrée et essayez de les appliquer: *www.sge-ssn.ch*

Si vous avez des problèmes liés à l'alimentation, n'hésitez pas à en discuter avec votre médecin.

Prise en charge psychologique

La plupart des centres offrent de nos jours un soutien psychologique. Cela ne veut pas dire que vous êtes mentalement malade. Il s'agit juste de vous soutenir dans tous les aspects de la maladie qui ne sont pas nécessairement médicaux, tels que la gestion de la maladie, la vie sociale et bien plus encore.

Favoriser la compréhension: quatre conseils pour impliquer la famille et les amis



1 Premier conseil – pas de faux-semblants

La polycythémie vraie représente une rupture avec votre vie d'avant. Les contraintes et les changements qui y sont associés sont également perceptibles pour vos proches. Il est donc judicieux d'informer votre famille et vos amis de la maladie. Cela permet d'éviter des malentendus ou des conclusions erronées si, par exemple, vous veniez à ne plus avoir autant de temps qu'auparavant pour les autres. Vous pouvez décrire brièvement la maladie aux personnes de confiance et, si nécessaire, évoquer les limitations et les contraintes qu'elle implique.

2 Deuxième conseil – parler des attentes

Les gens autour de vous voudront vous aider ou vous soutenir activement. Mais les conseils ne sont pas toujours les bienvenus. Soyez honnête et dites-leur si vous ne voulez pas parler de la maladie ou si leur aide devient trop pesante pour vous. Certaines personnes peuvent ne pas savoir comment faire face à vous et à votre maladie. Un échange ouvert est utile aux deux parties.

3 Troisième conseil – accepter une aide réelle

Avec la polycythémie vraie, il est possible que vous soyez moins en mesure de faire efficacement face à votre quotidien en raison de vos visites chez le médecin ou de problèmes physiques.

N'ayez pas peur d'accepter de l'aide, que ce soit pour le ménage, les courses ou simplement à travers une conversation. Un proche qui vous accompagne à la consultation médicale est également un soutien précieux.

4 Quatrième conseil – partenaire et sexualité

En cas de polycythémie vraie, des symptômes tels que la fatigue chronique, les démangeaisons, les douleurs, la fièvre et les sueurs nocturnes peuvent également affecter votre besoin d'intimité. Faites part à votre partenaire des moments où vous vous sentez mal à l'aise sur le plan physique et dites-lui que vous n'avez donc pas besoin d'un rapprochement physique.

Soutenir le traitement: trois recommandations pour vos consultations chez le médecin

1 Première recommandation – fournir des informations précises!

Dans le cas d'une maladie chronique comme la polycythémie vraie, la relation de partenariat avec le médecin est particulièrement importante, car le traitement vous accompagne toute votre vie durant. Plus vous collaborez activement et en toute confiance avec le médecin et l'informez de votre état, mieux il pourra vous aider.

Et n'oubliez pas:
un interlocuteur central

Idéalement, vous devriez avoir un interlocuteur médical qui connaît l'ensemble de vos antécédents médicaux et vous suit.

Votre médecin de famille ou un hématologue spécialisé dans les maladies du sang, qui diagnostique généralement aussi la polycythémie vraie, peut se charger de cette tâche. Il convient de toujours informer tous les médecins qui vous traitent de votre maladie!



2 Deuxième recommandation – poser des questions ciblées

S'informer est également important pour vous. De bonnes explications au sujet de votre maladie, des options de traitement et de l'objectif thérapeutique vous aideront à vous sentir bien pris(e) en charge.

Alors, si vous voulez savoir quelque chose ou si vous n'avez pas compris un point, n'hésitez jamais à poser des questions.

Plus votre médecin comprend vos souhaits ou vos questions et ce qui vous préoccupe, mieux il pourra vous répondre! Ceci est particulièrement important en ce qui concerne vos expériences pendant le traitement, par exemple, en cas d'apparition de nouveaux symptômes: ce que vous signalez au médecin peut être important pour l'ajustement du traitement.

3 Troisième recommandation – dites ce que vous avez sur le coeur

La relation de confiance s'épanouit grâce à une communication ouverte avec votre médecin. Si vous avez le sentiment que le médecin comprend vos préoccupations, alors «le courant passe». Cependant, si vous ne vous sentez pas à l'aise avec le médecin, expliquez-lui les raisons. Si vous avez des doutes, s'il vous manque certains renseignements ou si vous ne comprenez pas une mesure, dites-le à votre médecin. C'est là la seule façon de clarifier la situation.

Il peut arriver que vous ne parveniez pas à trouver de terrain d'entente concernant des aspects importants, même après en avoir discuté. Dans ce cas-là, c'est à vous de décider si vous voulez d'abord avoir un deuxième avis ou si vous souhaitez chercher directement un autre médecin avec lequel vous aurez plus d'«atomes crochus».

Glossaire

Anémie
L'anémie est due à une baisse du taux sanguin d'hémoglobine ou à un nombre insuffisant de globules rouges (érythrocytes).

Cellules sanguines
Voir globules rouges, globules blancs et plaquettes sanguines.

Cellules souches
Cellules du corps à partir desquelles différentes cellules spécialisées peuvent se développer, par exemple les cellules sanguines, les cellules musculaires ou les cellules nerveuses.

Chronisch
Une maladie chronique est une maladie qui dure longtemps. Le nom dérive du mot grec chronikos, qui signifie de longue durée. Les néoplasies myéloprolifératives, y compris la myélofibrose, sont considérées comme des maladies chroniques parce que leur progression est lente et que de nombreux symptômes des néoplasies myéloprolifératives sont chroniques.

Fatigue (épuisement)
Sensation de faiblesse et de fatigue qui limite votre capacité de travailler ou de vous livrer à d'autres activités. L'épuisement peut être aigu et soudain ou alors chronique et persistant.

Globules blancs (leucocytes)
Cellules sanguines formées par l'organisme pour combattre les infections.

Globules rouges (érythrocytes)
Les globules rouges sont responsables du transport de l'oxygène dans le corps.

Hémoglobine
Colorant des globules rouges.

JAK2
JAK2 est une protéine présente chez tous les êtres humains, qui contrôle la production de cellules sanguines dans la moelle osseuse. Elle fait partie d'une voie de communication transmettant des messages biologiques dans les cellules.

Janus kinases (JAK)
Molécule de signalisation cellulaire qui contrôle la prolifération et la croissance des cellules (p. ex. des cellules sanguines).

Leucémie myéloïde aiguë (LMA)
Maladie maligne qui se développe lorsque trop de cellules hématopoïétiques immatures sont présentes dans la moelle osseuse et dans le sang. Cela influence le développement des globules blancs qui combattent les infections. Le qualificatif «aigu» signifie que la maladie peut progresser rapidement.

Leucocytose
Augmentation du nombre de leucocytes (globules blancs) dans le sang.

Moelle osseuse
Tissu mou hématopoïétique (produisant du sang) qui remplit les os et contient des cellules sanguines immatures, appelées cellules souches. Celles-ci peuvent poursuivre leur développement et devenir des globules rouges qui transportent l'oxygène dans le corps, des globules blancs qui combattent les infections ou des plaquettes sanguines qui favorisent la coagulation.

Mutation
Modification du matériel génétique.

Myélofibrose (MF)
Cicatrisation des tissus fibreux et conjonctifs de la moelle osseuse, qui s'accompagne d'une anémie importante et souvent d'une augmentation du volume (hypertrophie) de la rate.

Néoplasies myéloprolifératives (NPM)
Groupe de maladies affectant le sang et la moelle osseuse. Quatre grands types de NPM comprennent environ 95% de toutes les NPM: la myélofibrose, la thrombocytémie essentielle, la polycythémie vraie et la leucémie myéloïde chronique (LMC).

Numération formule sanguine
Un certain nombre de valeurs représentant les différents composants du sang. Il existe une valeur pour chaque composant du sang, par exemple pour les globules blancs, les globules rouges ou les plaquettes.

Polycythémie vraie (PV)
La PV est l'un des sous-types de néoplasies myéloprolifératives et induit une surproduction des cellules sanguines, surtout des globules rouges.

Plaquettes sanguines (thrombocytes)
Composant du sang en forme de petit disque qui favorise la coagulation sanguine. Lorsque le sang coagule normalement, les plaquettes sanguines s'agglomèrent les unes aux autres (agrégation). Bien que les plaquettes soient souvent comptabilisées parmi les cellules sanguines, ce sont en fait des fragments de grosses cellules de la moelle osseuse.

Pronostic
Évolution ou issue probable d'une maladie.

Rate
Organe situé dans l'abdomen assurant une fonction de filtre pour le sang et les agents pathogènes.

Sueurs nocturnes
Bouffées de chaleur intenses survenant pendant la nuit et entraînant une transpiration extrême.

Splénomégalie
Terme désignant une augmentation aiguë ou chronique du volume de la rate (en grec *splen*).

Symptôme
Signe d'une maladie, souvent caractéristique d'une maladie particulière.

Thérapie ciblée
Forme de traitement inhibant spécifiquement la transmission de signaux (= thérapie ciblée) dans les cellules et ainsi donc la multiplication incontrôlée des cellules.

Thrombocytémie essentielle (ET)
La TE est l'un des sous-types de néoplasies myéloprolifératives et résulte d'une production excessive de plaquettes sanguines (thrombocytes).

Thrombocytose
Augmentation du nombre de plaquettes (thrombocytes) dans le sang au-delà du niveau normal.

Transplantation de cellules souches
Option thérapeutique pour les maladies hématologiques malignes. Lors d'une transplantation allogénique de cellules souches, les cellules souches du sang sont transférées d'un donneur à un receveur.

Liens et adresses

MPN Patientenunterstützungsverein Schweiz (uniquement en allemand)
Niesenstrasse 51
CH-3114 Wichtrach
info@mpnschweiz.ch
www.mpnschweiz.ch

HOPOS Association faîtière des organisations des patients hémato-oncologiques Suisse
Weidenweg 39
CH-4147 Aesch
info@hopos.ch
www.hopos.ch

Ligue suisse contre le cancer
Effingerstrasse 40
Case postale
CH-3001 Berne
krebsinfo@krebsliga.ch
www.liguecancer.ch

Vous trouverez des informations complètes au sujet de la myélofibrose sur:

La Société de leucémie et lymphome du Canada (SLLC)
www.sllcanada.org/neoplasmes-myeloproliferatifs

Fondation pour la recherche du Néoplasies myéloprolifératives (NPM)
www.mpnresearchfoundation.org

Fondation pour l'éducation en Néoplasies myéloprolifératives (NPM)
www.mpninfo.org

Ces liens renvoient vers des sites Internet de tiers dont le contenu ne relève pas de la responsabilité de Novartis.

MON PORTAIL PATIENT
www.vivre-avec-mf.ch



NOVARTIS

Novartis Pharma Schweiz AG
Suurstoffi 14, Case postale, 6343 Rotkreuz, Téléphone 041 763 71 11, www.novartispharma.ch

FA-11785026 09/2026