

Macroglobulinémie de Waldenström

Informations
Essentielles : Un Guide
du Patient



International Waldenström's
Macroglobulinemia Foundation

En partenariat avec :





Macroglobulinémie de Waldenström

Informations Essentielles : Un Guide du Patient

Stephen M. Ansell, MD, PhD

Dorotha W. and Grant L. Sundquist Professor in Hematologic Malignancies Research, Mayo Clinic
Professor of Medicine, Mayo Clinic College of Medicine

Carl Harrington

IWWMF President Emeritus
Chair, Global Patient Initiative

Steven Treon, MD, PhD

Director, Bing Center for Waldenstrom's Macroglobulinemia, Dana-Farber Cancer Institute
Professor of Medicine, Harvard Medical School

Traduction assurée par Sylvie Gentilhomme, Valérie Debaix et Patrice Ostermann de Waldenström France, nous remercions l'IWWMF ainsi que les auteurs pour nous avoir permis de traduire cette brochure en français.

Avis de non-responsabilité médicale : les informations présentées ici sont uniquement destinées à des fins éducatives. Elles ne sont pas destinées à se substituer à un avis médical. Les patients doivent utiliser les informations fournies en pleine concertation et sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans le traitement de la MW. Nous déconseillons l'utilisation par un patient de toute information contenue dans ce document sans en discuter avec son médecin spécialiste.

Informations Essentielles : Un Guide du Patient

1. Qu'est-ce que la macroglobulinémie de Waldenström ?

- La MW est un type de cancer du sang où une protéine anormale spécifique – un anticorps (ou immunoglobuline) appelé IgM – est produite en excès. L'IgM est le plus grand de tous les anticorps, appelé macroglobuline. Généralement, l'IgM est un « premier intervenant » en cas d'infections. La protéine IgM anormale n'est normalement pas présente chez les personnes en bonne santé, elle est également appelée protéine M ou paraprotéine.
- Dans le cas de la MW, les cellules MW anormales ne subissent pas de mort cellulaire programmée. Au lieu de cela, elles s'accumulent dans la moelle osseuse. Cela peut éliminer les cellules normales de la moelle osseuse qui fabriquent de nouveaux globules rouges conduisant à de l'anémie et réduire la production d'autres cellules qui nous protègent des infections.
- Ces cellules MW anormales peuvent également se développer en dehors de la moelle osseuse et provoquer une hypertrophie des ganglions lymphatiques et de la rate, ou proliférer dans l'espace pulmonaire, le cerveau ou la colonne vertébrale.
- Les cellules MW et l'excès d'IgM peuvent endommager les cellules et les organes du corps provoquant des symptômes tels que fatigue, engourdissement, picotements et faiblesse.
- L'excès d'IgM circule également dans le sang. En raison de la grande taille des IgM, le sang peut devenir très épais, un symptôme connu sous le nom d'hyperviscosité. Cela peut entraîner l'éclatement des vaisseaux sanguins, provoquant des saignements dans la rétine ou le cerveau. L'IgM peut également se déposer dans des organes comme le rein et affecter sa fonction.
- Certains patients MW peuvent avoir des symptômes qui sont directement liés aux propriétés physiques de la protéine IgM elle-même comme l'amylose, la cryoglobulinémie, l'anémie hémolytique à agglutinine froide et la neuropathie périphérique démyélinisante. Ceux-ci sont rares. Plus d'informations peuvent être trouvées sur le site Web de l'IWMMF : iwmf.com.

2. La MW est un cancer du sang rare, actuellement incurable, mais traitable.

- La MW est généralement un cancer indolent à croissance lente, et de nombreux patients n'ont pas besoin de traitement mais seulement de tests sanguins périodiques. La plupart des personnes atteintes de la MW nécessitant un traitement ont le temps de réfléchir à leurs options de traitement.

3. Quelle est la rareté de la MW ? Quelle est l'incidence de la MW ?

- Il y a environ 1 500 à 3 000 nouveaux cas de MW par an aux États-Unis et 1 500 à 3 000 par an en Europe. Dans l'ensemble, la MW ne représente que 1 à 2 % de tous les cancers du sang.
- Cette rareté signifie que la plupart des médecins traitants voient peu, voire jamais de MW au cours de leur carrière.

4. Comment diagnostique-t-on la MW ?

- En plus des tests sanguins, une biopsie de la moelle osseuse est essentielle au diagnostic.
- Environ 90 à 95 % des personnes atteintes de la MW ont la même mutation génétique dans un gène qui code une protéine appelée MYD88 tandis que 30 à 40 % ont une mutation génétique dans le gène CXCR4. Certaines mutations de CXCR4 affectent l'efficacité de certains traitements.

5. Pourquoi ai-je la MW ? Mes enfants l'auront-ils aussi ?

- La cause de la MW est inconnue. Cependant, les mutations génétiques associées à la MW (MYD88 et CXCR4) sont acquises au cours de votre vie et ne vous ont pas été transmises par vos parents et ne seront pas transmises à vos enfants.
- Jusqu'à 25% des personnes atteintes de la MW ont un parent au premier degré (parent, frère ou sœur ou enfant) ou au second degré (grand-parent, tante, oncle, cousin) atteint de la MW ou d'un autre lymphome à cellules B.
- Il existe un petit nombre de familles atteintes de la MW où les parents et les enfants ainsi que les frères et sœurs sont atteints de la MW.
- Dans les cas de MW "familiale", une étape raisonnable consisterait à effectuer des tests sanguins pour vérifier le nombre de cellules sanguines et rechercher une protéine anormale en faisant une électrophorèse des protéines sériques. Votre médecin traitant peut envisager de prescrire ces tests sanguins pour les enfants de 40 ans ou plus, compte tenu de l'apparition tardive de la MW.

6. La MW arrive généralement par étapes. Vais-je passer toutes les étapes ?

- Cela commence souvent par un diagnostic de MGUS (gammopathie monoclonale de signification indéterminée) qui, le plus souvent, est un précurseur de la MW. À partir de là, certaines personnes évoluent vers une MW asymptomatique (ou latente). Ce n'est que lorsqu'une personne évolue vers une MW symptomatique qu'un traitement est nécessaire.
- Tout le monde ne progresse pas à travers ces étapes. En fait, la plupart des patients atteints de MGUS n'évoluent pas vers une MW symptomatique. On peut rester au stade d'une MGUS ou au stade asymptomatique pour toujours.

7. Quand ai-je besoin d'un traitement ?

- Habituellement, un traitement est nécessaire lorsqu'une personne présente des symptômes liés à une faible numération sanguine et à une charge tumorale élevée – comme la fatigue ou des saignements – ou lorsque des taux élevés d'IgM provoquent une hyperviscosité symptomatique ou endommagent des cellules ou des organes.
- L'évolution de la MW peut varier considérablement d'une personne à l'autre. Par exemple, certaines personnes sont symptomatiques avec un faible niveau d'IgM tandis que d'autres s'en sortent bien avec un niveau élevé. Par conséquent, les médecins traitent généralement les personnes en fonction de leurs symptômes. Ce n'est que lorsque les niveaux d'IgM deviennent très élevés que votre médecin peut décider de commencer un traitement pour réduire le risque de développer une hyperviscosité.

8. Dois-je obtenir un deuxième avis ?

- La MW étant une maladie rare, il est recommandé d'essayer d'obtenir un deuxième avis auprès d'un médecin spécialiste de la MW. N'hésitez pas à discuter de la possibilité d'obtenir un deuxième avis avec votre équipe médicale.

9. Quelles sont mes options de traitement ?

- La bonne nouvelle c'est que de nos jours, il existe de nombreuses options de traitement. Dans le passé, il y en avait peu et souvent avec des effets secondaires importants.
- Les traitements se divisent grosso modo en deux catégories : des médicaments oraux à prendre à vie ou des traitements par perfusion administrés pendant une durée limitée. Votre équipe médicale vous aidera à choisir l'option la mieux adaptée à votre cas.
- Le rituximab est un médicament utilisé pour traiter de nombreux cancers du sang, y compris la MW. Malheureusement, cela provoque parfois une augmentation à court terme des niveaux d'IgM - appelée « effet Flare » qui pourrait être dangereuse. Certaines personnes ont besoin d'une procédure médicale appelée plasmaphérèse pour réduire leur taux d'IgM à court terme avant de commencer un traitement par rituximab. Le rituximab peut également être démarré plus tard dans le schéma thérapeutique.
- Assurez-vous d'informer votre équipe médicale de tous les effets secondaires que vous ressentez après le traitement. Il existe souvent des stratégies qui peuvent être utilisées pour réduire les effets secondaires.

10. Que se passe-t-il si ma MW revient ?

- La MW peut réapparaître ou progresser après un traitement initial, malgré une longue période de rémission suite à un traitement de chimiothérapie ou à un traitement continu. Si le traitement initial a réussi pendant plusieurs années, votre médecin peut le répéter ou recommander un nouveau traitement. Chez de nombreux patients, un traitement direct n'est pas nécessaire immédiatement car la rechute est asymptomatique et le patient peut être suivi avec des contrôles réguliers. Discutez des options avec votre équipe médicale.

11. Combien de temps vais-je vivre ?

- La durée de vie des personnes MW a considérablement augmenté ces dernières années. Dans le passé, on disait à de nombreux patients qu'ils avaient 3 à 5 ans à vivre après le diagnostic.
- C'est maintenant beaucoup plus long, certains experts de la MW disent 15 à 20 ans en moyenne à partir de la date du diagnostic. En fait, la cause du décès de nombreux patients n'est pas liée à leur MW. Ce qui est le plus important, c'est que le délai a considérablement augmenté et continue d'augmenter avec des médicaments plus récents, plus sûrs et plus efficaces.



12. Où puis-je obtenir de l'aide ?

Contactez l'IWMMF :

International Waldenström's Macroglobulinemia/ Foundation :

iwmmf.com

Téléphone : 941-927-4963

A l'international : 001-941-927-4963

L'IWMMF, la seule organisation internationale dédiée uniquement à la macroglobulinémie de Waldenström, est une organisation à but non lucratif fondée et dirigée par des patients avec une vision et une mission simples mais efficaces.

NOTRE VISION : Un monde sans MW (Macroglobulinémie de Waldenström).

NOTRE MISSION : Soutenir et éduquer toutes les personnes touchées par la macroglobulinémie de Waldenström (MW) afin d'améliorer la vie des patients tout en faisant avancer la recherche d'un remède.

L'IWMMF s'engage à créer un monde sans MW en trouvant un remède. Depuis 1999, l'IWMMF a investi plus de 21 millions de dollars dans des projets de recherche sur la MW à travers le monde. Grâce à cette recherche, les patients MW vivent plus longtemps et ont de meilleures options de traitement qui peuvent conduire à des rémissions plus durables, avec moins d'effets secondaires.

Visitez le site Web de l'IWMMF pour :

- Téléchargez gratuitement un Info Pak nouveau diagnostiqué.
- Téléchargez des publications gratuites sur la MW écrites dans un style clair et facile à comprendre, disponibles en plusieurs langues.
- Rejoignez un groupe de soutien IWMMF local ou une association affiliée mondiale.
- Rejoignez l'IWMMF Connect, une communauté en ligne offrant une grande variété de discussions par e-mails modérées liées à la MW, ou rejoignez l'IWMMF Facebook.
- Assistez au Forum éducatif annuel de l'IWMMF ou à nos webinaires en ligne.
- Abonnez-vous à l'IWMMF Torch, notre newsletter trimestrielle gratuite.
- Contactez un affilié de l'IWMMF au iwmmf.com/international-affiliates/
- Contactez un partenaire IWMMF : iwmmf.com/partners/
- Travaillez avec votre équipe médicale pour contacter le répertoire des médecins de l'IWMMF pour un deuxième avis : iwmmf.com/directory-of-wm-physicians/

La MW est une maladie rare, mais avec l'IWMMF vous n'êtes jamais seul.



International Waldenstrom's
Macroglobulinemia Foundation

6144 Clark Center Avenue, Sarasota, FL 34238

Téléphone: 941-927-4963

International: 001-941-927-4963

iwmf.com