



Avec le soutien institutionnel du laboratoire **ROCHE**

D-15/0315 - Établi le 13/01/2017

Comprendre

la maladie de Waldenström



**GUIDE PRATIQUE
D'INFORMATION**

Cette brochure est destinée aux personnes atteintes d'une maladie de Waldenström (MW), ainsi qu'à celles et ceux qui les entourent et les soutiennent.

Elle a été conçue pour vous apporter des informations utiles et pratiques sur votre maladie, son diagnostic, son évolution et sa prise en charge médicale, dans une démarche complémentaire au dialogue avec votre médecin.

Les auteurs de cette brochure sont :

- **Pr Véronique Leblond**
Pr Hélène Merle-Béral
du Service d'Hématologie du groupe hospitalier Pitié-Salpêtrière à Paris,
- **Pr Florence Cymbalista**
Dr Vincent Lévy
de l'hôpital Avicenne à Bobigny,
- **Pr Alain Delmer**
du service d'Hématologie du CHU de Reims,
- **Pr Xavier Troussard**
du CHU de Caen.

Au nom du Groupe FILO (French Innovative Leukemia Organization).

Un lexique des termes médicaux signalés par un * figure en page 13.

Association de Soutien et d'Information à la Leucémie Lymphoïde Chronique et à la maladie de Waldenström

*Un site internet pour
répondre à vos questions :*

www.sillic-asso.org



La maladie de Waldenström



La maladie 4



Le diagnostic 7



La prise en charge 9



Vivre avec la maladie 11



Pour en savoir plus 13

La maladie de Waldenström



La maladie de Waldenström (MW), décrite en 1944 par un médecin suédois, Jan Waldenström, est une maladie touchant les cellules appelées lymphocytes B. Ces cellules sont produites par la moelle osseuse*. Elles jouent un rôle important au niveau des défenses immunitaires en produisant des anticorps* (ou immunoglobulines) pour lutter contre les agents extérieurs (bactéries, virus etc.). Quand elles produisent des anticorps, elles se transforment en cellules appelées plasmocytes. **La maladie est caractérisée par une prolifération au niveau de la moelle osseuse des lymphocytes B et des plasmocytes, tous issus de clones d'une même cellule.**

Les cellules de la maladie de Waldenström s'accumulent dans la moelle. Plus rarement, elles passent dans le sang. Elles peuvent également s'accumuler dans les ganglions ou dans la rate, ce qui entraîne une augmentation de la taille de ces derniers.

Ces cellules fabriquent un même anticorps qui va circuler dans le sang : c'est une immunoglobuline de type M. Etant produite par des cellules identiques entre elles, cette immunoglobuline est appelée immunoglobuline « monoclonale » de type M (IgM).

Une maladie rare

La maladie de Waldenström touche assez peu de personnes. Le nombre de nouveaux cas survenant chaque année est estimé à 3,4 par million d'habitants chez l'homme et à 1,7 par million d'habitants chez la femme. L'âge moyen au moment du diagnostic est de 67 ans.

Une origine indéterminée

A l'heure actuelle, des recherches sont en cours pour mieux comprendre l'origine de cette maladie. Aucun facteur lié à l'environnement n'est identifié. Ce n'est pas une maladie contagieuse. Il est probable que des facteurs génétiques existent, mais ils ne sont pas connus avec précision. On peut aussi trouver chez certains patients des antécédents familiaux avec des parents plus ou moins proches ayant la même maladie ou des maladies hématologiques comparables. L'existence de ces formes familiales permettra peut-être dans l'avenir de mieux cerner les gènes responsables.



Pour en savoir plus

Lexique

- **Anticorps** : protéines qui se fixent sur des éléments soit étrangers, soit plus rarement de l'individu, et qui provoquent leur destruction. Immunoglobulines est un synonyme d'anticorps. Il existe plusieurs types d'immunoglobulines : IgM, IgG, IgA...
- **Effet indésirable** : réaction nocive et non désirée liée à la prise d'un médicament.
- **Moelle osseuse** : structure au niveau de tous les os où sont fabriqués les éléments du sang.
- **Vitesse de sédimentation** : examen pratiqué en laboratoire qui étudie le temps que mettent les globules rouges à se déposer. La vitesse augmente s'il existe une augmentation de certaines protéines dans le sang.

Vous pourrez trouver des informations complémentaires concernant la maladie de Waldenström sur les sites internet suivants :

www.sillc-asso.org

Association de Soutien et d'Information à la Leucémie Lymphoïde Chronique et à la maladie de Waldenström (SILLC)

www.filo-leucemie.org

Groupe FILO (French Innovative Leukemia Organization)

www.e-cancer.fr

Institut National du Cancer (INCa)

www.ligue-cancer.net

Ligue Nationale Contre le Cancer

www.unicancer.fr

Unicancer / Fédération Française des Centres de Lutte contre le Cancer

www.lls.org (en anglais)

The Leukemia & Lymphoma Society



Conseil pour vos consultations

Les consultations avec votre hématologue sont importantes pour votre suivi médical. Elles sont également un moment essentiel pour dialoguer avec votre médecin. Afin que les consultations et les échanges avec votre hématologue et l'équipe soignante soient les plus profitables possibles, voici quelques conseils qui peuvent vous être utiles :

- Notez sur un carnet toutes les questions que vous souhaitez poser, au fur et à mesure qu'elles vous viennent. Ainsi, le jour des consultations, vous serez certain de ne rien oublier.
- Demandez à un membre de votre famille ou à un proche de vous accompagner. Il ou elle peut vous aider à mieux comprendre ce qui vous est dit.
- N'hésitez pas à prendre des notes pendant les consultations ou à solliciter la personne qui vous accompagne pour qu'elle le fasse. S'il y a des termes que vous ne connaissez pas, demandez à ce qu'ils vous soient épelés.
- N'hésitez pas non plus à demander des compléments d'information aux infirmières. Elles peuvent vous expliquer les choses plus simplement que ne le font parfois les médecins.

Votre couverture sociale

La maladie de Waldenström fait partie des Affections de Longue Durée (ALD), c'est-à-dire des maladies qui donnent droit à une prise en charge à 100% par l'assurance maladie. Pour l'obtenir, votre médecin traitant doit en faire la demande auprès de votre caisse d'assurance maladie. Attention, les médicaments, les soins et les examens non liés à votre maladie, ainsi que le forfait hospitalier, ne sont pas compris dans la prise en charge à 100%. Ils vous seront remboursés au taux normal.

Si ce n'est pas le cas, il est donc intéressant de souscrire un contrat complémentaire santé auprès d'une mutuelle ou d'une assurance.

Renseignez-vous auprès du service d'aide sociale de votre hôpital.

Quels sont les signes de la maladie ?

Le plus souvent, la découverte est fortuite car une majorité de personnes atteintes de maladie de Waldenström ne ressent aucun signe de la maladie. Il est fort probable que la maladie de Waldenström se soit déclarée plusieurs années avant d'être diagnostiquée.

C'est souvent à l'occasion d'un examen sanguin de contrôle que la maladie est détectée. Une vitesse de sédimentation* élevée ou une augmentation du nombre des lymphocytes sanguins attire l'attention du médecin. Il demande alors la réalisation d'un examen appelé électrophorèse des protéines. Celui-ci met en évidence l'immunoglobuline anormale ; on observe un pic sur l'électrophorèse, ce qui montre la présence d'une quantité importante de l'IgM monoclonale.





Les autres signes possibles de la maladie

Plus rarement, d'autres signes peuvent attirer l'attention.

- L'infiltration dans la moelle osseuse des cellules de la maladie de Waldenström peut être responsable d'une diminution de la production des autres cellules de la moelle osseuse, ce qui peut se traduire par :
 - Une **anémie** en raison de la diminution de la production des globules rouges.
 - Des **infections fréquentes**, du fait d'une diminution du nombre des globules blancs et donc des capacités de défense de l'organisme.
 - Plus rarement, des **saignements** ou des **hématomes**, liés à une diminution de la production des plaquettes, cellules qui sont nécessaires à la coagulation du sang.
- L'immunoglobuline monoclonale peut par ailleurs être directement responsable de différents troubles :
 - Une **neuropathie**, c'est-à-dire une atteinte des nerfs. Celle-ci concerne le plus souvent les membres inférieurs et est révélée par des fourmillements, des crampes ou, plus rarement, des troubles de l'équilibre.
 - Une **anémie** lorsque l'immunoglobuline est dirigée contre des composants des globules rouges.
 - Une **diminution de la circulation sanguine** au niveau des mains et des pieds par temps froid, qui s'accompagne parfois d'ulcérations de la peau. Lorsque la température du corps diminue, l'immunoglobuline peut en effet se déposer dans les petits vaisseaux sanguins. L'immunoglobuline est alors appelée cryoglobuline.
 - Des **saignements** (au niveau du nez par exemple) si, dans la circulation sanguine, l'immunoglobuline retient des protéines nécessaires à la coagulation du sang.
 - Une **diminution de la fluidité du sang** provoquée par la présence en grande quantité de l'immunoglobuline. Ce « syndrome d'hyperviscosité » se traduit notamment par des maux de tête et des bourdonnements dans les oreilles.

Certains de ces signes peuvent apparaître au cours de l'évolution de la maladie.

La maladie de Waldenström ne nécessite pas de précaution particulière dans la vie de tous les jours. Vous pouvez vivre le plus normalement possible.

Bien se faire suivre

Il est essentiel d'être régulièrement suivi par un hématologue, même si vous n'avez aucun symptôme. Des consultations régulières permettent en effet à votre hématologue de contrôler votre état de santé. Si une évolution de votre maladie survient, il sera ainsi en mesure d'adapter votre prise en charge.



Les signes à surveiller

Il est important de prendre contact avec votre médecin généraliste ou votre hématologue si vous constatez les signes suivants : une fièvre persistante, une perte de poids, une sensation de fatigue persistante. Ces symptômes peuvent être le signe d'une infection qui nécessite alors un traitement adapté, ou peuvent témoigner d'une possible évolution de votre maladie.

Un soutien psychologique

La maladie de Waldenström est une maladie chronique, ce qui signifie qu'elle évolue plutôt lentement.

Après l'annonce de votre maladie, vous pourrez vous sentir déprimé ou être en colère. Pour vous aider à surmonter ces difficultés, il peut vous être profitable de recevoir un soutien psychologique. Parlez-en à votre hématologue ou votre médecin généraliste, afin qu'il vous conseille et vous oriente.

La prise en charge



Le diagnostic

Lorsque la maladie est symptomatique

Le patient présente des signes d'évolution de la maladie, en particulier une anémie, un taux important d'IgM dans le sang avec des signes de mauvaise tolérance ou des signes liés à une activité de l'IgM (atteinte neurologique, saignements, etc.). Que ces symptômes soient découverts au moment du diagnostic ou plusieurs années après, un traitement devient dans ce cas nécessaire. Le traitement pouvant exposer à des effets indésirables*, il ne doit être commencé que sur des critères qui sont maintenant bien définis.

Les modalités de traitement

Lorsqu'un traitement doit être initié, votre médecin vous propose des médicaments adaptés à votre cas. Il peut s'agir de produits injectés par voie intraveineuse. Dans ce cas, ils sont administrés lors de cures qui se répètent à intervalle régulier, habituellement de quelques semaines. Certains médicaments qui peuvent aussi vous être proposés sont pris tous les jours par voie orale.

La durée totale du traitement varie de 3 à 12 mois. Cette durée est déterminée et adaptée à la situation de chaque malade.

Le traitement est la plupart du temps prescrit en consultation ou délivré en hospitalisation de jour.

Un contrôle prolongé

Les traitements actuels permettent dans la grande majorité des cas d'obtenir une rémission : les symptômes disparaissent ou s'améliorent, le taux d'IgM monoclonale baisse sensiblement et la maladie n'évolue plus. La durée de cette rémission est variable d'une personne à une autre ; elle peut persister plusieurs années.

Même si les traitements actuels font disparaître en apparence les signes de la maladie, ils ne peuvent éliminer la totalité des cellules malades. Ainsi, après une période de normalisation plus ou moins longue, une réapparition des symptômes survient chez la majorité des patients. Il est alors possible d'initier un nouveau traitement. Des progrès permanents sont réalisés, permettant de contrôler cette maladie de façon prolongée.

Différents examens sont nécessaires pour établir le diagnostic de la maladie de Waldenström.

Dans un premier temps, le diagnostic repose sur la mise en évidence de l'immunoglobuline monoclonale dans le sang. Pour cela, des examens, appelés électrophorèse des protéines, immunofixation des protéines etc., sont réalisés à partir d'une prise de sang.

La présence d'une immunoglobuline monoclonale pouvant être observée dans d'autres maladies hématologiques, un examen de la moelle osseuse est nécessaire pour confirmer le diagnostic. Cet examen permet de mettre en évidence une augmentation des cellules lymphocytaires B dans la moelle et de constater qu'elles sont identiques.

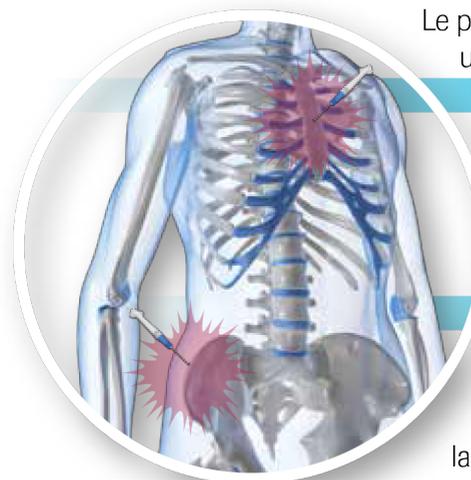


Le recueil de l'échantillon de moelle

Le prélèvement de moelle osseuse est obtenu par un myélogramme ou une biopsie médullaire.

Le myélogramme consiste à insérer, sous anesthésie locale, une aiguille creuse dans un os. Il s'agit généralement du sternum (os plat situé au milieu de la poitrine) ou de la partie saillante de la hanche. Une petite quantité de moelle est alors aspirée.

La biopsie médullaire est réalisée sous anesthésie locale avec un trocart, un instrument chirurgical constitué d'une tige creuse, qui est inséré dans un os de la hanche. Elle permet de prélever un petit morceau d'os, d'où sera extraite la moelle osseuse.



Ces examens peuvent être réalisés sans douleur grâce à l'utilisation d'analgésiques.

Le diagnostic



L'examen clinique

Lorsque les résultats des examens sanguins et de la moelle osseuse sont connus, le diagnostic est annoncé au cours d'une consultation. Le médecin procède alors à un examen clinique complet au cours duquel il recherche des signes liés à l'immunoglobuline. Il regarde notamment si des ganglions ont augmenté de volume ou si la rate est perceptible à la palpation.



Les examens complémentaires



A la suite de l'examen clinique, le médecin peut également prescrire des examens d'imagerie (échographie, scanner) qui permettront de détecter d'éventuels ganglions profonds atteints par les cellules de la maladie ou confirmer l'augmentation de la taille de la rate.



La prise en charge

Une maladie chronique

Contrairement à d'autres pathologies hématologiques dites « aiguës » qui évoluent rapidement et nécessitent un traitement urgent, la maladie de Waldenström est une maladie dont l'évolution est lente. C'est pourquoi les médecins la considèrent comme étant une maladie chronique qui peut n'avoir aucun retentissement sur la vie habituelle.

Pourquoi un traitement n'est pas forcément nécessaire ?

Un traitement est instauré uniquement si le malade présente des symptômes de la maladie, c'est-à-dire des signes cliniques ou des anomalies biologiques comme une diminution des globules rouges ou des plaquettes. En l'absence de symptômes ou de signes biologiques, une simple surveillance est suffisante.



Lorsque la maladie est asymptomatique

Le patient ne ressent et ne présente aucun signe apparent de la maladie, la numération formule sanguine est normale, il est uniquement observé dans le sang le « pic » de l'immunoglobuline de type M produite en excès par les lymphocytes anormaux. Aucun traitement n'est nécessaire à ce stade. En revanche, une surveillance médicale régulière est indispensable. En règle générale, une consultation avec un médecin hématologue est préconisée tous les 6 mois. A chaque consultation, le médecin recherche s'il existe des modifications cliniques ou biologiques à partir d'un examen clinique et d'une prise de sang.

Comme la maladie de Waldenström n'évolue jamais rapidement et de façon agressive, une surveillance semestrielle sans traitement est tout à fait adaptée et peut durer plusieurs années.