

Fiche bibliographie hors AMM

Emicizumab et maladie de Willebrand de type 3

Abréviations EI : effet indésirable ; CCP : concentrés de complexes prothrombiniques ; CRMW : centre de référence maladie de Willebrand ; pdVWF : plasma derived von Willebrand Factor ; PNDs : protocole national de diagnostic et de soin ; RCP : réunion de concertation pluridisciplinaire ; ttt : traitement ; VWF : von Willebrand Factor

1. Recommandations (n=1)

Type	Référence	Année	Extrait
PNDs	Maladie de Willebrand de type 3	2021	La potentielle utilisation d'Emicizumab dans un contexte d'immunisation au cours de la maladie de Willebrand ne peut être proposée qu'après avis du CRMW formalisé au décours d'une RCP. Il s'agit d'une utilisation exceptionnelle qui doit être encadrée par une réévaluation régulière de son rapport bénéfice/risque pour le patient. C'est un médicament dont l'usage est exclusivement prophylactique.

2. Essai clinique (n=1)

Essai clinique	Référence	Promoteur	Participation du laboratoire	Investigateur principal	Nombre de patients	Schéma thérapeutique	Critère d'évaluation d'efficacité	Critère d'évaluation de sécurité	Résultat
NCT05500807 Inclusions non débutées (nov 22)	Emicizumab for Severe Von Willebrand Disease (VWD) and VWD/Hemophilia A (BCDI-XII)	Bleeding and Clotting Disorders Institute Peoria, Illinois	Oui (Genentech)	Jonathan C Roberts	40 prévus	emicizumab en prophylaxie (pas d'information sur la posologie)	Survenue de saignements sur 18 mois (pas de détail)	EI, réactions d'hypersensibilité, événements thrombotiques	A venir

3. Rapports de cas : 6 articles, 10 patients

Référence	Patient	Ttt antérieurs	Schéma thérapeutique - emicizumab	Efficacité	Sécurité
Weyand AC, Flood VH, Shavit JA, et al. Efficacy of emicizumab in a pediatric patient with type 3 von Willebrand disease and alloantibodies. Blood Adv. 2019;3:2748- 50.	1 avec anti VWF (5 ans)	pdVWF en prophylaxie, Novoseven, Feiba	3mg/kg/semaine pendant 1 mois puis 1,5 mg/kg/semaine pendant 9 mois puis 3mg/kg/2 semaines	1 saignement post traumatique traité par FVIIa (hématome tissu mou)	pas d'EI rapporté
Sigaud M, Fouassier M, et al. Treatment with emicizumab leads to clinical improvement in atype 3 von Willebrand disease patient with inhibitor suffering from aleft ankle arthropathy. Res Pract Thromb Haemost. 02020;4(Supplement1):786. Abstract	1 avec anti VWF (48 ans)	Nuwiq	"posologie recommandée chez l'adulte"	très bonne efficacité sur arthropathie de cheville	pas d'EI rapporté
Cefalo MG, Ronco F, et al. Effectiveness of emicizumab in preventing lifethreatening bleeding complications in type 3 von Willebrand disease with inhibitors: A paediatric report. Haemoph Off J World Fed Hemoph. 2020	1 avec anti VWF et anti-FVIII (11 mois)	concentré de vWF/facteur rVIII, facteur VIII, Novoseven, CCP, IgIV	posologie 3mg/kg/sem pendant 4 sem puis 1,5mg/kg/sem pendant 6 mois, durée totale 12 mois	très bonne efficacité , pas d'hospitalisation, pas de transfusion globulaire, pas de saignement artriculaire	pas d'EI rapporté
Barg AA, Avishai E, Budnik I, et al. The potential role of emicizumab prophylaxis in severe von Willebrand disease. Blood Cells Mol Dis.2021;87:102530.	1 sans anti VWF (9 ans)	Haemate P	posologie 3mg/kg/sem pendant 4 sem puis 1,5mg/kg/sem pendant 6 mois, durée totale 11 mois	Excellente hémostase clinique, plus de saignement artriculaire spontané	pas d'EI rapporté
Vo K, Braustein K, Michals J, Pawar A. Prophylactic emicizumab-kxwh in children and adults with type 3 vonWillebrand disease. Pediatr Blood Cancer. 2021;68:e29060. Abstract	4 sans anti VWF (2, 6, 41, 44 ans)	ND	ND	enfants: pas d'hospitalisation, ni de transfusion; adultes: pas de saignement majeur, réduction des saignements spontanés	pas d'EI rapporté
Shanmukhaiah C, Jijina F, et al. Efficacy of emicizumab in von Willebrand disease (VWD) patients with and without alloantibodies to von Willebrand factor (VWF): Report of two cases and review of literature. Haemophilia. 2022 Mar;28(2):286-291. doi: 10.1111/hae.14491. Epub 2022 Jan 10. PMID: 35014121.	1 avec anti VWF (6 ans) 1 sans anti VWF (11 ans)	Avec anti VWF: Facteur VIII, Novoseven, IgIV, méthylprednisolone, rituximab Sans anti vWF: hormonothérapie, cryoprécipité	avec anti VWF: 3mg/kg/sem 4 sem puis 3 mg/kg/2 sem, durée totale 6 mois sans anti VWF: 3mg/kg/mois, durée totale 6 mois	pas de saignement traité	pas d'EI rapporté