



DÉPARTEMENT DE PHARMACIE

**Mémoire De Fin D'étude En Vue De L'obtention
Du Diplôme De Docteur En Pharmacie**

**Activité du facteur IX substitués
chez les hémophiles B**

Soutenu publiquement le : 30/JUIN\2025

Présentée et soutenu par:

- ❖ YAHAIQUI BOUCHRA
- ❖ ATMANI IKRAM
- ❖ LOUKRIZ OUIDAD

Encadrant : Dr Laarous imene Maitre assistante en hémobiologie.

Jury d'évaluation :

Président du jury :	PR Messasset Mouna	Maitre de conférences en pédiatrie
Examinateur :	DR Kehila Sara	Maitre assistante en hémobiologie
Examinateur :	DR Bendaoud SARA	Assistante en biochimie

Année Universitaire 2024/2025

Résumé

Résumé

Résumé

L'hémophilie B est une maladie héréditaire rare liée à un déficit en facteur IX de la coagulation, nécessitant une prise en charge adaptée pour limiter les complications hémorragiques. L'amélioration de la qualité de vie des patients repose en grande partie sur une surveillance clinique et biologique rigoureuse. Notre étude est descriptive, rétrospective, menée au sein du service de pédiatrie du CHU de Sétif durant la période du 30 avril au 30 mai 2025. Elle a porté sur 12 patients atteints d'hémophilie B, âgés de 1 à 20 ans. Elle a pour objectif d'évaluer les modalités de traitement et la surveillance biologique, ainsi que leur impact sur la qualité de vie des patients. Les données ont été recueillies à partir des dossiers médicaux et d'un questionnaire structuré en quatre volets : informations sociodémographiques, caractéristiques de l'hémophilie, surveillance biologique, et qualité de vie. Tous les patients étaient de sexe masculin. La majorité (83,3 %) présentait une forme sévère de la maladie. Dans 91,6 % des cas, la transmission était familiale, et 66,6 % des diagnostics ont été posés avant l'âge de 1 an. Le traitement reposait exclusivement sur l'administration de facteur IX d'origine plasmatique. Dix patients (83,3 %) bénéficiaient d'un protocole prophylactique, principalement avec une fréquence de deux injections par semaine. Aucun cas de développement d'inhibiteurs n'a été observé. Les bilans biologiques (TP, TCA, NFS, bilans hépatique et rénal) étaient globalement dans les normes, et aucune sérologie virale positive (VHB, VHC, VIH) n'a été détectée. Sur le plan de la qualité de vie, 83,3 % des enfants pratiquaient une activité physique, mais seuls 25 % suivaient rigoureusement leur traitement. Un besoin en soutien psychologique a été exprimé chez 58,3 % des patients.

Cette étude met en lumière l'importance d'un traitement précoce et régulier, d'une surveillance biologique adaptée, et d'un accompagnement psychologique pour améliorer la prise en charge globale des patients atteints d'hémophilie B.

Abstract

Hemophilia B is a rare hereditary disease caused by a deficiency in coagulation factor IX, requiring appropriate management to reduce the risk of hemorrhagic complications. Improving patients' quality of life largely depends on rigorous clinical and biological monitoring. Our study is a descriptive, retrospective analysis conducted in the pediatric department of the University Hospital of Sétif, during the period from April 30 to May 30, 2025. It included 12 patients with hemophilia B, aged between 1 and 20 years. The aim was to evaluate treatment modalities and biological monitoring, as well as their impact on patients' quality of life. Data were collected from medical records and a structured questionnaire divided into four sections: sociodemographic information, characteristics of hemophilia, biological monitoring, and quality of life. All patients were male. The majority (83.3%) had a severe form of the disease. In 91.6% of cases, transmission was familial, and 66.6% of diagnoses were made before the age of one. Treatment was based exclusively on the administration of plasma-derived factor IX. Ten patients (83.3%) were on a prophylactic protocol, mainly with a frequency of two injections per week. No cases of inhibitor development were observed. Biological tests (PT, aPTT, CBC, liver and kidney function tests) were generally within normal ranges, and no positive viral serologies (HBV, HCV, HIV) were detected. In terms of quality of life, 83.3% of the children participated in physical activity, but only 25% adhered strictly to their treatment. A need for psychological support was expressed by 58.3% of the patients. This study highlights the importance of early and regular treatment, appropriate biological monitoring, and psychological support to improve the overall management of patients with hemophilia B.

ملخص

الهيموفيليا ب هي مرض وراثي نادر ناتج عن نقص في العامل التاسع من عوامل التخثر، ويطلب تدبيراً علاجياً مناسباً للحد من المضاعفات النزفية. تعتمد جودة حياة المرضى بشكل كبير على المراقبة السريرية والبيولوجية الدقيقة، دراستنا وصفية واسترجاعية، أجريت في مصلحة طب الأطفال بالمستشفى الجامعي سطيف خلال الفترة من 30 أبريل إلى 30 مايو 2025. شملت 12 مريضاً مصاباً بالهيموفيليا ب، تتراوح أعمارهم بين سنة واحدة و20 سنة. وتهدف إلى تقدير أنماط العلاج والمراقبة البيولوجية، وكذلك تأثيرها على جودة حياة المرضى، تم جمع البيانات من الملفات الطبية ومن خلال استبيان منظم مكون من أربعة محاور: المعلومات الاجتماعية والديموغرافية، خصائص المرض، المراقبة البيولوجية، وجودة الحياة، جميع المرضى كانوا من الذكور. وكانت الأغذية (83.3%) تعاني من الشكل الشديد للمرض. وفي 91.6% من الحالات، كانت الإصابة عائلية، و66.6% من التسخينات تم إجراؤها قبل بلوغ عام من العمر. اعتمد العلاج بشكل حصري على إعطاء العامل التاسع المستخلص من البلازما. عشرة مرضى (83.3%) كانوا يتبعون بروتوكولاً وقائماً، في الغالب على شكل حقنتين أسبوعياً. ولم تسجل أي حالة لتطور مثبطات ضد العامل التاسع. كانت التحاليل البيولوجية (زمن البروترومبين، زمن الثروموبلاستين الجزئي، تعداد الدم الكامل، ووظائف الكبد والكلى) في المعدلات الطبيعية عموماً، ولم تكشف أي إصابة فيروسية إيجابية (التهاب الكبد B ، التهاب الكبد C ، فيروس نقص المناعة البشرية). من ناحية جودة الحياة، 83.3% من الأطفال كانوا يمارسون نشاطاً بدنياً، لكن 25% فقط كانوا يتلزمون بالعلاج بشكل صارم، كما عبر 58.3% من المرضى عن حاجتهم إلى دعم نفسي. يُبرز هذه الدراسة أهمية العلاج المبكر والمنتظم، والمراقبة البيولوجية المناسبة، والدعم النفسي لتحسين التدبير الشامل للمرضى المصابين بالهيموفيليا ب.