



Améliorer les Vies • Trouver le Remède

Comprendre **KYPROLIS®** (carfilzomib) pour injection

Une publication de l'International Myeloma Foundation

Dédié à l'amélioration de la qualité de vie des patients atteints de myélome tout en travaillant à la prévention et au remède.



Myélome Multiple
Cancer de la Moelle Osseuse

Améliorer les Vies • Trouver le Remède

A propos de l'International Myeloma Foundation



Établie en 1990, l'International Myeloma Foundation (IMF) est la première et la plus grande association caritative du monde spécialement consacrée au myélome. Forte de plus de 240 000 membres répartis dans 120 pays, l'IMF apporte son soutien aux patients atteints de myélome, aux membres de leur famille et à l'ensemble de la communauté médicale. L'IMF propose un vaste gamme de programmes dans des domaines variés tels que **la recherche, la formation, le soutien et la sensibilisation:**

RECHERCHE L'IMF s'impose comme le leader de la recherche collaborative sur le myélome. Elle finance les recherches en laboratoire et a octroyé, depuis 1995, plus de 100 bourses aux meilleurs jeunes chercheurs et chercheurs chevronnés. L'IMF est en outre à l'origine d'une initiative unique et couronnée de succès qui rassemble des experts à la pointe de la recherche internationale au sein du Groupe de travail international sur le myélome (International Myeloma Working Group, ou IMWG). Publiant des articles dans de prestigieuses revues médicales, ce groupe s'attache à établir le plan d'action pour la recherche d'un traitement, à aider la future génération de chercheurs innovants à faire ses premières armes et à améliorer la qualité de vie des patients grâce à des soins de meilleure facture.

FORMATION Les séminaires de formation à destination des patients et des familles, les ateliers en centres de soins, et les ateliers communautaires locaux de l'IMF sont organisés dans le monde entier. Ces rencontres permettent à des spécialistes du myélome et à des chercheurs dans ce domaine de fournir des informations actualisées directement aux patients et à leur famille. Mis à jour tous les ans et totalement gratuit, notre centre de ressources met plus de 100 publications à la disposition des patients, des auxiliaires de vie et des professionnels de la santé. Ces publications sont traduites dans plus de 20 langues.

SOUTIEN Des coordinateurs sont disponibles pour répondre aux questions de milliers de familles chaque année et pour leur apporter leur soutien et leurs connaissances, par téléphone sur notre ligne d'assistance gratuite au +1-818-487-7455, ou par e-mail. L'IMF assure la gestion d'un réseau comptant plus de 150 groupes de soutien et propose une formation aux centaines de patients, auxiliaires de vie et infirmiers dévoués qui se portent volontaires pour animer ces groupes au sein de leur communauté.

SENSIBILISATION Le programme de sensibilisation de l'IMF vise à former et aider les différents acteurs de la cause à sensibiliser l'opinion publique aux problèmes de santé rencontrés par les patients atteints de myélome et leur entourage. Active aussi bien au niveau de l'État qu'au niveau national, l'IMF est à la tête de deux coalitions revendiquant la parité en matière d'assurance. Des milliers de militants formés par l'IMF font avancer sa cause chaque année sur des questions essentielles pour les membres de la communauté du myélome.

Apprenez-en davantage sur les actions de l'IMF destinées à améliorer la qualité de vie des patients atteints de myélome et sur ses efforts en matière de prévention et de recherche de traitement. Appelez-nous au **+1-818-487-7455**, ou consultez le site **myeloma.org**.

Améliorer les Vies • Trouver le Remède

Table des matières

Les Comprendre	4
KYPROLIS®	4
Comment KYPROLIS® fonctionne?	5
KYPROLIS® dans les essais thérapeutiques	5
Administration de KYPROLIS®	5
Dose et protocole d'administration du KYPROLIS®	6
Les effets indésirables de KYPROLIS®	6
Définitions et Termes	9

Les Comprendre

La série de livrets appelée *comprendre* de l'IMF inclue en parti le livret **10 Steps to Better Care®** (10 étapes pour une meilleure prise en charge).

Vous pouvez trouver ces informations avec plus de détails sur le site web de l'IMF **myeloma.org** et sous d'autres formats. Vous pourrez ainsi retrouver des résumés sur les essais thérapeutiques et leurs résultats, la mise en ligne de guidelines, des vidéos avec l'analyse de ces résultats, et bien plus peuvent être vus ou téléchargés.

Pour toutes questions ou pour avoir des tirés-à part de nos publications vous pouvez contacter la **hotline de l'IMF** sur le site **TheIMF@myeloma.org** ou en appelant le **800-452-CURE (2873)**, pour les USA ou le Canada ou le **818-487-7455** pour les autres pays du monde. Nous espérons que vous partagerez votre expérience et vos questions.

Ce livret *comprendre* a essentiellement pour objectif de vous donner des informations d'ordre général qui vous guideront dans votre compréhension de la maladie et nous espérons aussi vous permettra de poser des questions à l'équipe médicale qui vous prend en charge. En aucun cas ces informations remplacent les recommandations des médecins ou du personnel médicale qui vous prend en charge. Les questions que vous vous posez pourront être principalement répondus par l'équipe médicale qui vous prend en charge.

Les termes qui apparaissent **en gras** sont précisés dans le chapitre **termes et définitions** à la fin de ce livret.

KYPROLIS®

Kyprolis (est le nom générique de carfilzomib) est un **inhibiteur du Protéasome** de nouvelle génération. Kyprolis (se prononce

« kye-PRO-lis ») a été approuvé par la U.S. Food and Drug Administration (FDA) le 20 juillet 2012 pour le traitement des patients ayant un **myélome multiple** qui ont reçus au moins deux lignes thérapeutiques antérieures comprenant le bortézomib (Velcade®) et un IMiD®, drogue immunomodulatrice (le thalidomide ou le lénalidomide [Revlimid®]), mais aussi ont un myélome multiple en progression lors de la dernière ligne thérapeutique ou dans les 60 jours de la fin de la dernière ligne thérapeutique.

De plus en plus de traitements sont accessibles pour les patients diagnostiqués et pris en charge avec un myélome multiple, soit en monothérapie soit en combinaison, et il est important de bien connaître chacune de ces thérapeutiques. Ce livret vous apporte des informations concernant Kyprolis, les résultats des essais thérapeutiques avec Kyprolis, quand et comment cette thérapeutique est administrée au patient, les effets indésirables possibles et comment les prendre en charge. *Comprendre KYPROLIS® (carfilzomib) pour injection* reprendra plusieurs des chapitres de 10 Steps to Better Care **le myélome multiple au niveau de:**

- **Etape 4** – Les traitements associés de support et de confort et comment y avoir accès
- **Etape 9** – Rechute. Quelle prise en charge, faut-il un nouveau traitement?

Kyprolis est le deuxième inhibiteur du protéasome à être approuvé par la FDA. Les inhibiteurs du protéasome fonctionnent en bloquant l'activité d'un complexe **enzymatique** appelé le **protéasome**. Ce protéasome est présent tant au niveau des cellules cancéreuses que des cellules normales et principalement détruit ou recycle des protéines endommagées ou qui ne sont plus nécessaires. Le protéasome permet donc de réguler la quantité de protéines présente dans les cellules, un mécanisme essentiel du fonctionnement cellulaire. Ces petits composants issus du recyclage via le protéasome

sont ensuite réutilisés pour de créer nouvelles protéines nécessaires et utilisées par les cellules. Le protéasome peut donc être imaginé comme étant un outil de recyclage des protéines initiales pour les cellules.

Comment KYPROLIS® fonctionne?

Quand Kyprolis inhibe le protéasome un certain nombre de mécanismes et de fonctions essentiels à l'équilibre naturel et normal des cellules sont interrompus. Le blocage du protéasome résulte en un grand nombre de conséquence pour les cellules, certaines toujours en cours d'étude. Parmi ces fonctions identifiées, il a été montré dans les études pré cliniques au laboratoire que les cellules cancéreuses arrêtaient de se diviser et une mort cellulaire était induite appelée **apoptose**. De plus, les cellules tumorales arrêtent de produire un certain nombre de substances chimiques qui stimulent les autres cellules cancéreuses. Et, comme les cellules cancéreuses sont plus sensibles à toutes ces fonctions et mécanismes que les cellules normales, elles sont d'autant plus sensibles à l'inhibition du protéasome. La conséquence est que les cellules cancéreuses meurent plus lorsque exposées à un inhibiteur du protéasome par rapport aux cellules normales qui gardent la capacité de récupérer et de survivre à cette inhibition.

KYPROLIS® dans les essais thérapeutiques

L'efficacité et la sécurité de Kyprolis ont été étudiées dans plusieurs essais thérapeutiques (de phase II) comprenant une l'étude 003-A1. Dans cet essai multicentrique, 266 patients avec un myélome multiple en rechute et réfractaire déjà exposé à au moins deux lignes thérapeutique antérieures dont le bortézomib et les agents immunomodulateurs (thalidomide et/ou lénalidomide),

le Kyprolis était administré en monothérapie en ouvert. Les résultats de cette étude ont été publiés dans le journal *Blood* (juillet 2012). Les patients avaient en médiane reçus au moins 5 lignes thérapeutiques antérieures dans cet essai et pour 74% étaient progressifs lors de la dernière ligne thérapeutique. Pour 14,3% d'autres patients le myélome multiple avait progressé dans les 60 jours après la fin de la dernière ligne thérapeutique. Enfin 75% patients dans cet essai et pour lequel la cytogénétique et/ou le **FISH** avait été vérifié présentait un profil dit à haut risque. 89% de ces patients avaient aussi un antécédent de neuropathie. Le taux de réponse globale (ORR) dans cette étude, qui comprenait les patients qui avaient obtenus ce que l'on appelle une réponse partielle et mieux (c'est-à-dire au minimum 50% de réduction du **composant monoclonal** ou mieux), était de 22.9%. La durée médiane de réponse (pour les patients qui ont obtenu une réponse) était approximativement de 8 mois. Approximativement 1/5 des patients qui étaient réfractaires au bortézomib et/ou aux IMiDs ont pu obtenir au moins une réponse partielle à Kyprolis. Au total, parmi les 526 patients traités dans les 3 phases II ayant utilisées le Kyprolis en monothérapie, l'incidence des neuropathies périphériques considérée comme sévères était inférieure à 1% des patients. Une réactivation du virus de l'herpès était rapportée dans 2% des patients.

Administration de KYPROLIS®

Kyprolis est une poudre lyophilisée qui doit être reconstituée (dissoute) avant d'être administrée. Kyprolis est donc un agent thérapeutique qui est administré par voie intraveineuse à la dose de 20 mg/m² de surface corporelle pour le premier cycle et qui est ensuite augmenté à 27 mg/m² aux cycles suivants, les injections durant de 2 à 10 minutes.

Dose et protocole d'administration du KYPROLIS®

Kyprolis est donné deux fois par semaine (schéma bi hebdomadaire) sur deux jours consécutifs pour trois semaines par cycle (jours 1, 2, 8, 9, 15 et 16) suivi d'une période de 12 jours de repos (jours 17 à 28). Les patients traités dans le cadre des essais thérapeutiques qui ont permis l'enregistrement (l'approbation de Kyprolis) par la FDA ont été traités jusqu'à la progression du myélome ou la survenue d'une toxicité inacceptable, ou pour un maximum de 12 cycles selon les essais. Globalement, les patients qui au 12^{ième} cycle et dont le myélome était toujours répondeurs à Kyprolis, pouvaient entrer dans une cohorte dite d'extension ou ils pouvaient continuer de recevoir le traitement. Votre hématologue évaluera votre myélome multiple, votre réponse sur le myélome multiple et votre tolérance à Kyprolis, et déterminera ainsi le nombre de cycles de Kyprolis que vous pouvez recevoir, et aussi la possibilité ou non de vous maintenir sous Kyprolis. Votre hématologue déterminera également si une adaptation des doses ou du protocole d'administration du Kyprolis est nécessaire ou recommandée.

Les effets indésirables de KYPROLIS®

Les effets indésirables les plus fréquemment observés (dans au moins 30% des patients) par les patients qui ont reçu Kyprolis dans ces différents essais thérapeutiques étaient la fatigue, l'**anémie** (diminution du taux d'hémoglobine et donc du nombre de **globules rouges**), les nausées, les **thrombopénies** (diminution du nombre des **plaquettes**), la dyspnée (sensation de souffle court), la diarrhée et la fièvre. Le Kyprolis

peut aussi être responsable de sensation de vertige, de malaise et/ou une diminution plus ou moins rapide ou brutale de la pression artérielle. Il est donc important de faire attention lorsqu'on est traité par Kyprolis à limiter ou éviter les situations susceptibles de vous mettre en danger ou de mettre en danger autrui comme par exemple de conduire sa voiture ou de faire fonctionner des machines. Votre médecin ou le personnel médical peut vous donner de plus amples informations au sujet de ces effets secondaires et de leurs possibles retentissements.

Des effets secondaires dits sévères (encore appelé événements indésirables graves) ont été rapportés à la FDA par les médecins et les patients pendant les différents essais ayant compris du carfilzomib. 45% des patients ont rapporté un effet indésirable grave. L'effet indésirable grave le plus fréquemment rapporté était des pneumopathies chez 10% des patients, une insuffisance rénale chez 4% patients, une fièvre chez 3% des patients et il a aussi été rapporté une insuffisance cardiaque de type congestive dans 3% des cas. Ces effets indésirables ont été à l'origine de l'arrêt du traitement par Kyprolis chez environ 15% des patients, dont dans 2% des cas en lien avec une insuffisance cardiaque congestive, un arrêt cardiaque, une sensation de souffle court, une augmentation de la créatinine dans le sang ou une insuffisance rénale aiguë dans 1% des patients. Si vous êtes traités par Kyprolis vous devez rapporter à votre médecin ou au personnel médical toute modification de votre santé et les effets indésirables que vous ressentez ou dont vous faites l'expérience.

Fatigue.

La fatigue est l'effet indésirable le plus communément associé au traitement par Kyprolis et qui peut s'aggraver au fur et à mesure des injections et des cycles de traitement

par Kyprolis. Nous vous encourageons à vous référer à la publication de l'IMF *Comprendre l'Anémie et la Fatigue* pour plus d'informations sur cet effet indésirable.

La prévention et le traitement de la fatigue.

La prise en charge de la fatigue peut faire intervenir un certain nombre de moyens pour corriger cette fatigue, qui seront entrepris par votre médecin. Un certain nombre d'actions peuvent être ainsi prise par les patients pour diminuer les conséquences de la fatigue :

- Diminuer de modérément à beaucoup son activité tout en évitant d'arrêter complètement son activité ou de se mettre en sur activité.
- Avoir une diététique adaptée, habituelle, saine et comprenant une hydratation suffisante voir importante.
- Dormir de façon significative pour pouvoir reposer son organisme.
- Ne pas manquer les rendez vous avec son médecin ou un autre professionnel de santé.

Anémie.

Les globules rouges contiennent de hémoglobine, une protéine qui permet de transporter le fer et l'oxygène des poumons vers les différents organes et tissus du corps. Quand un patient à une anémie cela résulte en une diminution du niveau d'oxygène transporté aux tissus de l'organisme dans le corps ce qui peut donner la sensation d'avoir le souffle court et surtout d'être fatigué, voir exténué. Comme pour la fatigue, l'anémie n'est pas un effet immédiat du Kyprolis, mais un effet qui peut survenir au fur et à mesure que les patients reçoivent des cycles de Kyprolis et éventuellement peut s'aggraver au fur et à mesure des cycles.

Prévention et traitement de l'anémie.

Votre médecin vous dira quel est le meilleur

moyen et le plus sécurisé pour prendre en charge cette anémie si vous en ressentez les symptômes. Plusieurs options sont en générales disponibles pour la correction d'une anémie :

- Adapter le traitement du myélome multiple.
- Transfuser en concentré érythrocytaire.
- Utiliser des facteurs de croissance érythropoïétiques encore appelé EPO pour érythropoïétine recombinante.

Nausée.

Des nausées peuvent survenir avec le Kyprolis, rarement sévère, cependant. Si vous êtes sujet à des vomissements, vous pouvez avoir besoin d'augmenter vos apports hydriques. Si vous n'arrivez pas à compenser les vomissements par un apport hydrique suffisant, vous pouvez ressentir des sensations de vertiges, éventuellement maux de tête, voire sensation de malaise. Une prise en charge spécifique peut alors être recommandée en cas de déshydratation.

Prévention des traitements des nausées.

Des précautions particulières peuvent être prises pour prévenir la déshydratation induite par des vomissements. Vous devez boire une quantité suffisante d'eau, et éventuellement d'autres modes d'hydratation, de façon journalière ; et si vous faites l'expérience des symptômes préalablement décrits vertiges, maux de tête, malaises, vous devez rapidement consulter un médecin. Votre médecin pourra vous proposer des traitements antiémétiques (qui préviennent les nausées et vomissements), voir si nécessaire vous réhydrater par voies intraveineuses.

Thrombopénie.

Les patients qui ont pris du Kyprolis ont souvent été exposés à la thrombopénie, une diminution du taux de plaquettes dans le sang. Les plaquettes participent à l'hémostase, c'est-à-dire à la formation d'un

caillot lorsque l'on a un syndrome hémorragique, pour limiter la gravité et la durée du syndrome hémorragique. La diminution du taux (du nombre) des plaquettes peut-être à l'origine de plusieurs formes de syndrome hémorragique pouvant aller d'un simple hématome à un saignement sévère en lien avec une diminution de la capacité de coaguler. Le niveau des plaquettes diminue avec le traitement par Kyprolis, mais le plus souvent grâce à l'intervalle de repos entre les injections le taux des plaquettes revient à la valeur normale, permettant de réaliser avec sécurité les injections suivantes voir les cycles suivant.

Préventions et traitements des thrombopénies.

Vous devez informer votre médecin si vous voyez apparaître un syndrome hémorragique, que ce soit un hématome ou un saignement. La prise en charge peut comprendre la transfusion de plaquettes si nécessaire si votre médecin le recommande. Le fait d'avoir une thrombopénie au départ du traitement par Kyprolis ne signifie pas que vous ne pouvez pas recevoir de Kyprolis, car vous pouvez recevoir une transfusion de concentrés de plaquettes si nécessaire.

Dyspnée.

La sensation de souffle court peut être la conséquence de très nombreuses causes et mécanismes incluant des problèmes cardiaques et/ou pulmonaires, une anémie, un phénomène de déconditionnement (manque d'exercices, une obésité). Cependant, dans tous les cas où cet événement indésirable survient de façon aiguë, il est important de contacter rapidement votre médecin. En effet, il a été rapporté des événements cardiaques et pulmonaires chez les patients ayant reçus du Kyprolis ; et la sensation de souffle court peut donc être le premier signe d'un événement indésirable sérieux et doit être rapidement rapporté à votre médecin.

Prévention et traitement de la dyspnée.

Les mesures appropriées pour prévenir et traiter la sensation de souffle court dépendent principalement de la cause de ce symptôme. Votre médecin fera le point sur votre état cardiaque et pulmonaire par différents examens, comprenant des examens de votre sang, pour définir la cause de cet essoufflement et pouvoir vous expliquer et vous administrer la thérapeutique adéquate.

Diarrhée.

La survenue de diarrhée est possible avec le Kyprolis. Les diarrhées peuvent aussi être à l'origine d'une déshydratation et de ce fait les patients ressentir des sensations de vertiges, maux de tête, malaises, essentiellement si les diarrhées sont importantes ou persistantes.

Prévention et traitement des diarrhées.

Des précautions particulières doivent être prises par rapport au risque de déshydratation, qui peuvent être causée par des diarrhées excessives ou persistantes. Vous devez avoir un niveau d'hydratation suffisant en permanence et augmenter ce niveau d'hydratation si vous faites l'expérience de diarrhées. Vous devez vous rapprocher de votre médecin pour vous faire prescrire des médicaments anti diarrhéiques si nécessaires, et surtout si vous faites l'expérience des symptômes de déshydratation que sont vertiges, maux de tête et malaise. Votre médecin peut aussi décider de vous réhydrater par voie intraveineuse si nécessaire.

Fièvre.

La fièvre peut être le signe d'une infection virale ou bactérienne, d'un effet secondaire à une thérapeutique et rarement peut être liée à la rechute ou la progression du myélome multiple. La fièvre peut-être le signe d'un état d'affection sévère pouvant mettre en jeu votre vie, et donc tout épisode de fièvre doit être rapporté immédiatement à

votre médecin. Si vous ressentez à la fois de la fièvre et une sensation de souffle court vous devez également le rapporter dans les plus brefs délais à votre médecin. Un traitement immédiat pourra alors être administré.

Prévention et traitement de la fièvre.

Votre médecin va rapidement déterminer, dans un premier temps, grâce à des tests, les causes de la fièvre pour pouvoir prendre les mesures appropriées, qui peuvent contenir une ou plusieurs des actions suivantes:

- Antibiothérapie
- Thérapie anti virale
- Traitement pour l'allergie
- Hydratation
- Changement du traitement du myélome multiple

Autres effets secondaires.

D'autres effets indésirables sont survenus avec le Kyprolis, ce pendant avec une fréquence moindre. Ces événements incluent des problèmes cardiaques, un syndrome de lyse tumorale et des désordres bronchopulmonaires ainsi qu'hépatiques. Une surveillance adaptée est mise en route pour permettre de rapidement diagnostiquer ces problèmes, s'ils devaient survenir lors d'un traitement par Kyprolis. Si vous avez des questions ou des doutes concernant ces événements indésirables, vous devez en premier lieu en discuter avec votre médecin et surtout votre hématologue. Il faut contacter votre hématologue, ou le personnel médical en général, rapidement, si vous faites l'expérience des événements indésirables suivants:

- Dyspnée souffle court
- Syndrome de type viral (pseudo grippal comprenant fièvre et sensation d'avoir froid)
- Douleurs thoraciques
- Toux
- Sensation de vertiges, trouble de la concentration, sensation de malaise

- Œdèmes des pieds, des orteils ou des membres inférieurs de façon générale
- Grossesse (une femme ne doit pas recevoir de Kyprolis si elle est enceinte)
- Tout autre effet indésirable qui vous ennuie, vous inquiète ou qui ne régresse pas.

Il est très important de communiquer en permanence et rapidement avec l'équipe médicale et paramédicale qui vous prend en charge quand vous recevez des traitements pour le myélome multiple. Vous devez demander à votre hématologue un numéro de téléphone ou autre moyen ou vous pouvez le joindre rapidement, voir dans les plus brefs délais, si besoin et notamment lors la nuit ou les week-ends. Nous insistons sur l'importance à faciliter le travail des médecins, et notamment de votre hématologue qui vous prend en charge au cours du traitement, en lui rapportant rapidement et clairement les événements indésirables que vous pouvez présenter et ressentir. Le fait de prévenir votre médecin, et de façon générale votre hématologue, rapidement participe à votre qualité de vie, à la facilité et à la rapidité avec laquelle le médecin sera en mesure de prendre en charge et éventuellement de corriger ces événements indésirables. Cela participe amplement à l'amélioration globale de votre prise en charge. L'IMF souhaite avoir un rôle facilitateur entre vous et votre équipe médicale et para médicale.

Définitions et Termes

Anémie: diminution du taux d'hémoglobine dans le sang qui traduit une diminution du nombre des globules rouges.

Apoptose: phénomène physiologique (normal) qui consiste à éliminer les cellules qui sont arrivées au terme de leur vie. On parle encore de mort cellulaire programmée. Cela permet d'éliminer les cellules dont l'ADN est endommagé, les cellules inutiles voir les cellules dont le maintien dans l'organisme est non souhaité.

Cellule: c'est la plus petite unité de vie dans l'organisme, nous avons des millions de petites cellules microscopiques dans notre organisme.

Enzyme: il s'agit d'un type de protéine qui est responsable d'un certain nombre de réaction chimique induites en modifiant d'autres protéines et substances, notamment au niveau des cellules.

Événements Indésirables: encore appelés effets secondaires, c'est un événement causé par un traitement. Certains événements peuvent être observés avec de très nombreux traitements, alors que d'autres événements indésirables sont plus spécifiques d'un traitement en particulier. Un événement indésirable réfère à un événement non souhaité ressenti par le patient ou observé chez un patient. Certains effets secondaires cependant sont en fait la traduction d'un effet thérapeutique et à ce titre peuvent être bénéfique pour le patient.

FISH: Fluorescent In situ Hybridization est une procédure pour étudier les anomalies des chromosomes et permettre de connaître certaines anomalies spécifiques de l'ADN sur des chromosomes.

Globule blanc: est une cellule du sang, produite par la moelle osseuse, qui participe au contrôle des infections mais aussi des cellules cancéreuses.

Globules rouges: Il s'agit d'une cellule du sang qui transporte l'oxygène des poumons à l'ensemble de l'organisme et à l'ensemble des organes vitaux du corps humain.

Inhibiteur du protéasome: Un agent thérapeutique qui interfère avec le protéasome, avec la fonction du protéasome (avec le complexe enzymatique du protéasome) est appelé un inhibiteur du protéasome. A ce titre, ces agents thérapeutiques dérèglent la fonction de recyclage du protéasome, donc l'ensemble des fonctions cellulaires qui sont associées au recyclage des protéines qui sont dépendantes du protéasome. Cela a une conséquence sur les cellules normales et les cellules cancéreuses.

Moelle osseuse: Il s'agit d'un tissu qui se situe au centre des os de tout le squelette axial, avec une prédominance au niveau du crâne, du sternum et des vertèbres ainsi que du bassin chez l'adulte. La moelle osseuse produit l'ensemble des cellules dites hématopoïétiques, comprenant les globules rouges, les globules blancs et les plaquettes.

Myélome Multiple: il s'agit d'un cancer qui se développe à partir des plasmocytes dans la moelle osseuse. Cette hémopathie maligne est à l'origine de la production d'un composant monoclonal (immunoglobuline, encore appelé gammaglobuline ou anticorps) et peut avoir un retentissement sur la fonction de la moelle osseuse (cytopénie), sur l'atteinte des os (lésions osseuses lytiques), mais il peut aussi y avoir d'autres organes atteints (reins avec la survenue d'une insuffisance rénale).

Neuropathie: il s'agit d'une sensation au niveau des mains ou au niveau des pieds, mais qui peut retentir ailleurs, de fourmillement. Il peut y avoir des douleurs, la sensation de membres froids, des difficultés à pouvoir prendre ou saisir finement certains

objets ou à tenir, notamment, au niveau des mains certains objets. Cela peut aussi se traduire au niveau des pieds par la difficulté à bien sentir les obstacles.

Plaquette: est un élément du sang qui participe principalement dans la coagulation permettant de limiter les saignements et de rapidement corriger les dommages qui peuvent survenir au niveau des vaisseaux sanguins.

Plasmocyte: est une cellule appartenant à la famille des globules blancs, plus précisément un lymphocyte B au stade terminal qui produit des anticorps.

Plasmocytome: il s'agit d'une tumeur, souvent localisée, faite de plasmocytes tumoraux

Protéasome: il s'agit donc d'un complexe enzymatique important dont l'objectif est de détruire de recycler des protéines soient anormales soit non voulues soient endommagées et qui ne doivent pas être maintenues en fonction dans les cellules parce que ce recyclage de protéine est capital pour maintenir l'homéostasie cellulaire ou l'équilibre dans les cellules et permet ainsi de réguler de très nombreuses fonctions cellulaires comme la survie la prolifération, la mort programmée et la production de substances essentielles à la vie des cellules.

Protéines: Ce sont des molécules, composantes essentielles des cellules, qui participent à presque la totalité des fonctions des cellules. De très nombreuses protéines ont une fonction dite enzymatique, c'est-à-dire qu'elles sont capables de créer des réactions biochimiques en modifiant d'autres protéines, et sont absolument vitales pour le métabolisme cellulaire. Les protéines participent aussi à la structure de la cellule (cytosquelette) et à de nombreuses fonctions mécaniques comme par exemple la signalisation, l'adhésion, la réponse immunitaire, le cycle cellulaire, mais aussi le déplacement des cellules dans l'organisme.

Protéines monoclonales: Le composant monoclonal est une protéine anormale, produite par les cellules myélomateuses, qui va être sécrétée dans le sérum et éventuellement dans les urines. Un taux important de composant monoclonal est un général corrélé à un nombre important de cellules myélomateuses.

Syndrome de lyse tumoral: Il s'agit du relargage dans le sang du produit de dégradation des cellules tumorales, traduisant le fait que la masse tumorale est en destruction importante (destruction des cellules cancéreuses). C'est un événement indésirable bénéfique au patient, mais qui peut induire une souffrance au niveau du rein.

Thrombopénie: La thrombopénie est le terme utilisé quand le taux des plaquettes est en dessous de la normale dans le sang. Quand le taux des plaquettes est bas, voir très bas, il peut être à l'origine d'un syndrome hémorragique, qui peut se traduire par des hématomes, voir un saignement, traduisant un retard dans l'hémostase, la formation des caillots.

10 STEPS TO BETTER CARE®

UN OUTIL UNIQUE POUR S'INFORMER SUR LE DIAGNOSTIC ET LE TRAITEMENT

Un des aspects complexes du diagnostic du myélome multiple est de comprendre cette maladie compliquée et dont les patients et leur famille ne sont pas familiers. Ce livre intitulé 10 Steps to Better Care® (10 étapes pour une meilleure prise en charge) vous guidera à travers le myélome multiple du diagnostic au suivi à long terme :

1. Comment faire le diagnostic de myélome.
2. Les tests nécessaires.
3. Les options thérapeutiques au diagnostic.
4. Les traitements associés de support et de confort et comment y avoir accès.
5. Intensification thérapeutique par autogreffe.
Ai-je besoin de cette procédure ?
6. Définir ma réponse : est-ce que mon traitement est efficace ?
7. Consolidation et/ou maintenance.
8. Suivi à court et moyen terme : comment sera évalué le myélome ?

Visiter le site **10steps.myeloma.org** pour plus d'information sur le myélome multiple et pour mieux comprendre le diagnostic de myélome multiple; mais aussi pour vous accompagner dans les différentes étapes nécessaires pour comprendre les différents tests utilisés dans le myélome multiple, les tests les plus adaptés à votre situation, ainsi que les traitements spécifiques et de support dans le myélome multiple et enfin, les essais thérapeutiques disponibles.

L'International Myeloma Foundation (IMF) vous encourage à poser vos questions avec vos médecins, généraliste et spécialistes, sur le myélome multiple. L'IMF a pour vocation de vous aider en vous donnant des outils pour mieux comprendre et mieux prendre en charge votre myélome multiple. À ce titre, vous pouvez visiter le site web de l'IMF, myeloma.org, où appeler l'IMF sur la hotline au 800-452 CURE (2873), où vous pourrez discuter avec des personnes spécialisées qui seront en mesure de répondre à vos questions et vos interrogations. L'IMF a pour vocation d'aider.

