

Guide Du Patient

International Myeloma Foundation
12650 Riverside Drive, Suite 206
North Hollywood, CA 91607-3421
Hotline (USA and Canada): 800.452.CURE (2873)
Tel: 818.487.7455
Fax: 818.487.7454
Email: TheIMF@myeloma.org
Website: www.myeloma.org



© 2008 International Myeloma Foundation



International Myeloma Foundation

Myélome multiple

Cancer de la moelle osseuse



International Myeloma Foundation (IMF)
Préparé par Brian G.M. Durie, MD
Édition 2008/2009

TABLE DES MATIÈRES

| | |
|---|----|
| INTRODUCTION | 4 |
| QU'EST-CE QUE LE MYÉLOME ? | 5 |
| DONNÉES DE BASE SUR LE MYÉLOME | 7 |
| POURQUOI FAUT-IL TRAITER LE MYÉLOME | 8 |
| CE QUI PROVOQUE LES PROBLÈMES MÉDICAUX CHEZ LES PATIENTS ATTEINTS DE MYÉLOME | 9 |
| DIFFÉRENTS TYPES DE MYÉLOMES | 11 |
| CLASSIFICATION DU MYÉLOME | 12 |
| TESTS AU MOMENT DU DIAGNOSTIC | 15 |
| TRAITEMENT DU MYÉLOME | 17 |
| THÉRAPIE INITIALE OU THÉRAPIE DE PREMIÈRE INTENTION | 18 |
| TRAITEMENT DE SOUTIEN | 21 |
| SI LA THÉRAPIE INITIALE NE MARCHE PAS | 23 |
| QUELQUES QUESTIONS À POSER À VOTRE MÉDECIN | 23 |
| TERMES & DÉFINITIONS | 26 |

INTRODUCTION

Le myélome multiple est un cancer de la moelle osseuse. Il reste peu connu du grand public malgré une médiatisation qui s'intensifie. Le but de cette brochure est d'apporter des informations et des conseils élémentaires pour faire face à cette maladie.

L'International Myeloma Foundation (IMF) a pour but d'éduquer et de soutenir les patients et leur famille. Ce manuel fournit des explications simples sur le myélome, suffisantes pour permettre aux patients de prendre des décisions éclairées sur le choix d'un traitement. Ce guide vient en complément des informations fournies par le médecin. Les soignants, la famille et les amis peuvent également y trouver les informations dont ils ont besoin.

Actuellement, le myélome reste incurable, mais se traite parfaitement. De nombreux patients vivent des années, voire des dizaines d'années après le diagnostic de la maladie. Avec l'avancée de la recherche, les traitements s'améliorent constamment. Mieux connaître le myélome et comprendre ce qui peut être fait pour sa prise en charge peut contribuer à réduire l'anxiété du patient et de son entourage et aider à accepter le diagnostic.

Le myélome est une maladie très particulière qui évolue souvent lentement, mais peut parfois être plus agressive. Alors que le médecin apprécie chaque cas particulier et recommande la meilleure approche, le patient joue un rôle essentiel dans la décision du choix de traitement. Il est important que les patients et leurs familles soient bien informés, qu'ils posent des questions et réfléchissent sérieusement à des stratégies ou des options alternatives de traitements.

QU'EST-CE QUE LE MYÉLOME ?

Le myélome est littéralement un « ome » ou tumeur, impliquant le « myélo », ou les cellules produisant le sang dans la moelle osseuse. Les cellules affectées sont les plasmocytes (une catégorie de leucocytes), qui sont les cellules produisant nos anticorps (immunoglobuline). Un plasmocyte malin ou cancéreux est appelé une cellule myélomateuse. Le Myélome est appelé « myélome multiple » en raison des plaques ou zones multiples dans les os où se développent des tumeurs ou des lésions. Une lésion unique est appelée plasmocytome solitaire.

Le myélome affecte les endroits où la moelle osseuse est normalement active chez un adulte. La moelle est présente dans la cavité à l'intérieur des os de la colonne vertébrale, du crâne, du bassin, de la cage thoracique, et des zones situées autour des épaules et des hanches. Généralement, les extrémités ne sont pas affectées : mains, pieds et régions de l'avant bras et de la partie inférieure de la jambe. Cela est très important puisque la fonction de ces zones essentielles est généralement entièrement conservée.

Le myélome peut être découvert à un stade précancéreux (voir tableau 1). Dans certains cas, les cellules myélomateuses se développent très lentement dans la moelle osseuse. Le stade le plus précoce est appelé **MGUS**. Ce n'est pas un cancer, mais un état appelé **Gammopathie Monoclonale de Signification Indéterminée**, dans lequel les cellules myélomateuses représentent moins de 10% des cellules de la moelle osseuse. Le risque d'évolution d'une MGUS vers un myélome actif est très faible : seulement 1% de chance durant chaque année de suivi. Même si les cellules myélomateuses sont à un niveau compris entre 10 et 30% de la moelle osseuse, leur taux de croissance est très lent et représente un myélome **indolent/couvant** ou **asymptomatique**. La MGUS et le myélome indolent peuvent évoluer lentement pendant des années et ne nécessitent pas de traitement actif. Il est très important d'établir le diagnostic correct en faisant la distinction entre **MGUS** et **myélome indolent**, et **myélome actif** ou **symptomatique** qui nécessite un traitement.

TABEAU 1 : DÉFINITIONS DE LA MGUS ET DU MYÉLOME

| <i>ANCIEN NOM</i> | <i>NOUVEAU NOM</i> | <i>DÉFINITION</i> |
|--|---|--|
| MGUS (Gammopathie Monoclonale de Signification Indéterminée) | MGUS (pas de changement de nom) | <ul style="list-style-type: none"> • Présence de la protéine monoclonale • Aucun état sous-jacent de maladie |
| MYÉLOME COUVANT OU INDOLENT | MYÉLOME ASYMPTOMATIQUE | <ul style="list-style-type: none"> • Stade de la maladie supérieur à la MGUS, mais toujours sans symptôme ni anomalie organique* |
| MYÉLOME | MYÉLOME SYMPTOMATIQUE | <ul style="list-style-type: none"> • Présence d'une protéine monoclonale et • Au moins une anomalie organique « CRAB »*. |

*ANOMALIE ORGANIQUE, CRITÈRES « CRAB »

C – hypercalcémie (>10 mg/L)

R – insuffisance rénale (créatinine >2 mg/dL)

A – anémie (hémoglobine <10 g/dL)

B – lésions osseuses (lésions lytiques ou ostéoporose)

AU MOINS UNE de ces anomalies est nécessaire pour diagnostiquer un MYÉLOME SYMPTOMATIQUE

DONNÉES DE BASE SUR LE MYÉLOME

Même si plusieurs facteurs semblent susceptibles de causer ou de déclencher le myélome, tous les détails n'en sont pas connus. Les facteurs associés à un risque élevé de myélome et de maladies corollaires sont les produits chimiques toxiques (par exemple, les produits chimiques utilisés en agriculture et l'agent orange utilisé au Vietnam et de même qu'une vaste gamme de composés pétrochimiques), les irradiations (dont les rayonnements atomiques), ainsi que certains virus dont, entre autres, le virus de l'immunodéficience humaine (VIH), les virus hépatiques et le virus herpès humain (HHV-8). Il semble que l'hérédité ne joue pas un rôle essentiel dans le myélome. Toutefois, quelques familles ont une plus grande prédisposition à cette maladie.

Le myélome se développe chez les adultes. L'âge moyen de l'apparition du myélome se situe aux alentours de 60 ans. Seulement 5 à 10% des patients ont moins de 40 ans. Le myélome touche essentiellement les hommes et certains groupes raciaux comme les afro-américains.

On estimera à 20.000 le nombre de nouveaux cas de myélome aux États-Unis chaque an. La proportion se situe de ~0.5/100.000 à 1/100.000 chez les asiatiques jusqu'à environ 10/100.000 à 12/100.000 chez les hommes afro-américains. Aux États-Unis, à tout moment, il y a 100.000 patients atteints de myélome sont en traitement, et nous croyons qu'il y a 750.000 patients dans le monde.

POURQUOI FAUT-IL TRAITER LE MYÉLOME

En l'absence de traitement, le myélome peut provoquer des lésions osseuses, une hypercalcémie, une numération formule sanguine (NFS) basse (en particulier l'anémie), une prédisposition aux infections et une insuffisance rénale. Les os de la colonne vertébrale étant souvent touchés, et les protéines du myélome produites par les cellules myélomateuses pouvant toucher les nerfs, il est courant d'avoir des problèmes de colonne vertébrale et des problèmes de neuropathie pouvant nécessiter une attention urgente.

Dans le cadre d'un traitement pour le myélome, il est important de distinguer les problèmes urgents comme les lésions osseuses, l'insuffisance rénale, ou la compression des nerfs, nécessitant une attention immédiate et la mise en place d'un traitement. Dans certains cas, le traitement doit être immédiat. Cependant, il est conseillé de consulter rapidement un hématologue/oncologue possédant une bonne connaissance du myélome. Les alternatives possibles, chirurgie d'urgence ou radiothérapie, par exemple, peuvent être abordées et discutées avec le patient. Il est également important de s'assurer que toutes les options sont prises en compte pour le futur.

Une fois l'urgence traitée, un projet global de traitement plus détaillé peut être envisagé. Généralement, le patient a tout le temps de demander un nouvel avis ou une consultation auprès d'un expert pour s'assurer que toutes les options de traitement sont soigneusement examinées. Même si le projet de traitement semble clair, en cas d'inquiétude, de questions ou de doutes, il est préférable d'en parler le plus tôt possible. Il est primordial d'établir un planning de traitement continu, en commun accord avec votre praticien.

CE QUI PROVOQUE LES PROBLÈMES MÉDICAUX CHEZ LES PATIENTS ATTEINTS DE MYÉLOME

Des plasmocytes sains produisent des immunoglobulines, qui sont des protéines complexes appelées « anticorps ». Les cellules myélomateuses ne peuvent pas produire d'anticorps fonctionnels, mais une protéine clonale, ou immunoglobuline, connue sous le nom de « protéine monoclonale ». **Tous les problèmes médicaux liés au myélome sont provoqués par le développement de cellules myélomateuses (voir tableau 2).** Contrairement à d'autres types de cancers, le myélome peut engendrer chez les patients un certain nombre de complications inattendues car **les cellules myélomateuses ne produisent pas seulement des tumeurs, elles libèrent un certain nombre de protéines et d'autres substances chimiques** dans le microenvironnement de la moelle osseuse et directement dans le sang.

- **Effets locaux dans la moelle osseuse.** Les effets dans la moelle osseuse englobent une diminution de la production de cellules sanguines et une atteinte de l'os environnant. Les résultats visibles sont les caractéristiques courantes du myélome, comme l'anémie, la prédisposition aux infections, des douleurs osseuses, des fractures des os, et une hypercalcémie.
- **Effets en dehors de la moelle osseuse.** Les effets en dehors de la moelle osseuse sont principalement causés par la protéine monoclonale produite par les cellules myélomateuses. A mesure que les cellules myélomateuses prolifèrent dans la moelle osseuse, l'immunoglobuline ou protéine anticorps spécifique du myélome est libérée dans le sang. Cette protéine immunoglobuline spécifique ou protéine monoclonale produite par les cellules myélomateuses peut provoquer un endommagement des tissus à différents organes de l'organisme : il n'est pas rare que les reins soient atteints. La protéine peut interférer dans la coagulation et/ou la circulation sanguine, et peut potentiellement provoquer l'endommagement d'autres organes ou tissus.

Le traitement du myélome réduit le développement tumoral et ces différents effets dus aux protéines et substances chimiques du myélome.

TABLEAU 2 : PROBLÈMES MÉDICAUX LIÉS AU MYÉLOME

| <i>EFFETS DU DÉVELOPPEMENT DE CELLULES MYÉLOMATEUSES DANS LA MOELLE OSSEUSE</i> | <i>CAUSE</i> | <i>IMPACT SUR LE PATIENT</i> |
|---|--|---|
| Anémie | Baisse du nombre et de l'activité des cellules produisant des hématies (globules rouges) | <ul style="list-style-type: none"> • Fatigue • Asthénie |
| Hyperprotéïnémie (dans le sang et/ou l'urine) | Une protéine anormale ou monoclonale produite par le myélome est libérée dans le sang et peut passer dans les urines (où elle est connue sous le nom de protéine de Bence Jones) | <ul style="list-style-type: none"> • Mauvaise circulation • Anomalie rénale possible |
| Anomalie osseuse : <ul style="list-style-type: none"> • Diminution de la densité des os (ostéoporose) ou • Des zones plus sévèrement atteintes provoquent des lésions lytiques, des fractures ou un tassement de vertèbre | Les cellules myélomateuses activent les cellules ostéoclastes, qui détruisent l'os et bloquent les cellules ostéoblastes qui contribuent normalement à réparer l'os endommagé. | <ul style="list-style-type: none"> • Douleur osseuse • Hyperostose • Fracture d'un os ou tassement de vertèbre |
| Hypercalcémie | Le calcium des os atteints est libéré dans le sang | <ul style="list-style-type: none"> • Confusion mentale • Déshydratation • Constipation • Fatigue • Apathie |
| Affaiblissement de la fonction normale du système immunitaire pour lutter contre les infections | Les cellules myélomateuses bloquent la production d'anticorps normaux pour lutter contre les infections | <ul style="list-style-type: none"> • Susceptibilité aux infections • Lente guérison suite à une infection |

DIFFÉRENTS TYPES DE MYÉLOMES

Il existe différents types et sous-types de myélomes. Le type de myélome dépend du type d'immunoglobuline (protéine) produit par les cellules myélomateuses. En temps normal, les diverses immunoglobulines ont des fonctions différentes dans le corps. Chaque protéine immunoglobuline est composée de deux chaînes lourdes et de deux chaînes légères (voir figure 1). Il existe cinq types de chaînes de protéine lourdes : G, A, D, E et M. Il existe deux types de chaînes de protéine légères : k(κ) et l(λ). La détermination du type de myélome (établie par le biais d'un test appelé « immunofixation ») identifie à la fois les chaînes lourdes et les chaînes légères. La plupart des patients atteints de myélome, soit environ 65%, ont un myélome de type IgG (iG) avec des chaînes légères k ou l. Le second type de myélome le plus courant est le myélome de type IgA (iA), également avec des chaînes légères k ou l (voir tableau 3). Les myélomes de type IgM, IgD, et IgE sont plus rares.

FIGURE 1 : STRUCTURE DE L'IMMUNOGLOBULINE



Chez environ 30% des patients, les chaînes légères (comme les chaînes légères kappa) sont présentes dans les urines, et les chaînes lourdes et les chaînes légères (comme IgG kappa) sont

présentes dans le sang. Chez environ 10% des patients, les cellules myélomateuses produisent uniquement des chaînes légères et pas de chaînes lourdes. Cette pathologie est connue sous le nom de « myélome à chaîne légère » ou « myélome de Bence Jones ». Il est rare (chez environ 1 à 2% des patients) que les cellules myélomateuses produisent très peu ou pas du tout de protéine monoclonale de quelque type que ce soit. On parle alors de myélome « non sécrétant ». Cependant, le test Freelite® (analyse des chaînes légères libres sériques), peut détecter des quantités extrêmement infimes de chaînes légères dans le sang chez la plupart de ces patients.

TABLEAU 3 : TYPES DE MYÉLOMES

| <i>CHAÎNE LOURDE*</i> | <i>CHAÎNE LÉGÈRE**</i> | <i>TYPE DE MYÉLOME</i> |
|------------------------------------|-------------------------------|---|
| IgG: (immunoglobuline G) | kappa (κ) ou lambda (λ) | IgGκ ou IgGλ Immunoglobuline G avec chaîne légère kappa ou lambda |
| IgA: (immunoglobuline A) | kappa (κ) ou lambda (λ) | IgAκ ou IgAλ Immunoglobuline A avec chaîne légère kappa ou lambda |

*Les types plus rares sont les types IgD, IgE et IgM

**Il existe seulement deux types de chaînes légères

Il existe des différences subtiles dans le comportement des différents types de myélomes. Le myélome de type IgG possède les caractéristiques fréquentes du myélome. Le myélome de type IgA peut parfois se caractériser par des tumeurs en dehors de l'os. Le myélome de type IgD peut s'accompagner d'une leucémie des plasmocytes et provoque plus fréquemment une insuffisance rénale. Le myélome à chaînes légères ou myélome de Bence Jones est le plus susceptible de provoquer une anomalie rénale et/ou un dépôt des chaînes légères dans les reins et/ou sur les nerfs ou d'autres organes. Selon les caractéristiques des dépôts de chaînes légères, cet état est appelé dépôt d'amyloïde ou dépôt de chaînes légères.

CLASSIFICATION DU MYÉLOME

Lors du diagnostic du myélome, l'étendue du myélome dans le corps varie d'un patient à l'autre. Cela s'appelle le stade du myélome. Le système utilisé jusque là pour établir le stade du myélome est indiqué dans le tableau 4. Il montre la corrélation entre l'étendue du myélome et le dommage provoqué, tel que la maladie osseuse ou l'anémie. Les perspectives sont meilleures lorsque le traitement est démarré tôt et que la maladie osseuse ou d'autres complications peuvent être évitées. Le système le plus répandu pour établir le stade du myélome est indiqué dans le tableau 5. Il est le résultat de la collaboration de plus d'une vingtaine d'instituts de recherche dans le monde entier.

TABLEAU 4 : SYSTÈME DE CLASSIFICATION DE DURIE ET SALMON

| <i>STADE</i> | <i>CRITÈRES</i> | <i>MESURE DE LA MASSE DES CELLULES MYÉLOMATEUSES (cellules myéломateuses en milliards/m²)</i> |
|---|---|--|
| STADE I (faible masse tumorale) | <i>Tous les critères suivants :</i> <ul style="list-style-type: none"> • Hémoglobine >10 g/dL • Calcémie sérique <10,5 mg/dL • Radiographie osseuse normale (échelle 0), ou plasmocytome osseux solitaire • Taux de production de la protéine monoclonale faible IgG<5 g/dL IgA<3 g/dL • Chaînes légères de la protéine monoclonale dans l'urine à l'électrophorèse <4g/24h | 600 milliards* |
| STADE II (masse tumorale intermédiaire) | <i>Ne répond à la définition ni du stade I, ni du stade III</i> | 600 à 1.200 milliards* |
| STADE III (haute masse tumorale) | <i>Un ou plusieurs des critères suivants :</i> <ul style="list-style-type: none"> • Hémoglobine <8,5 g/dL • Calcémie sérique >12mg/dL • Lésions lytiques étendues (Échelle 3) • Taux de production de la protéine monoclonale élevé IgG>7 g/dL IgA>5 g/dL • Protéinurie de Bence Jones >12 g/24h | >1.200 milliards* |
| SOUS CLASSIFICATION (A ou B) | <ul style="list-style-type: none"> • A : fonction rénale préservée (créatininémie sérique <2,0 mg/dL) • B : insuffisance rénale (créatininémie sérique >2,0 mg/dL) <i>Exemples : Stade IA (faible masse tumorale avec fonction rénale conservée), stade IIIB (forte masse tumorale avec insuffisance rénale)</i> | |

* cellules myéломateuses dans l'organisme

TABEAU 5 : SYSTÈME INTERNATIONAL DE CLASSIFICATION (ISS)

Stadification du myélome multiple

| STADE | CRITÈRES |
|-----------|--|
| STADE I | $\beta 2M < 3.5$ ALB ≥ 3.5 |
| STADE II | $\beta 2M < 3.5$, et ALB < 3.5 ou $\beta 2M 3.5 - 5.5$ |
| STADE III | $\beta 2M > 5.5$ |

Remarque: $\beta 2M$ = $\beta 2$ -microglobuline sérique en mg/L
ALB= albumine sérique en g/dL

Plusieurs tests (évaluations des facteurs pronostiques, du grec signifiant « savoir avant ») peuvent être utilisés pour évaluer l'agressivité du myélome chez un patient donné. Généralement, des résultats très élevés ou anormaux indiquent un myélome en pleine activité, et probablement, moins de chance qu'un traitement réponde sur la durée (tableau 6).

TABEAU 6 : FACTEURS PRONOSTIQUES

| TEST | SIGNIFICATION |
|--|---|
| • $\beta 2$ microglobuline sérique (S $\beta 2M$) | Plus le niveau est élevé , plus le stade est avancé |
| • Albumine sérique (S. Alb) | Plus le niveau est bas , plus le stade est avancé |
| • Protéine C réactive (CRP) | Élevé en cas de maladie active |
| • LDH sérique (lactate déshydrogénases) | Élevé en cas de maladie active |
| • Recherche de chromosomes anormaux par un test cytogénétique de la moelle osseuse et confirmation par la technique FISH (hybridation in situ en fluorescence) | Multiples suppressions ou translocations de chromosomes associées à une rémission plus courte |

TESTS AU MOMENT DU DIAGNOSTIC

Le tableau 7 résume les tests types devant être effectués au moment du diagnostic (tests de référence)

TABEAU 7 : TESTS DE RÉFÉRENCE

| TEST | OBJECTIF |
|---|---|
| <p>Biopsie de la moelle osseuse Des tests spéciaux sont effectués pour établir un pronostic : chromosomes, typage immunitaire, coloration de l'amyloïde</p> | <p>C'est le test le plus important pour déterminer le pourcentage des cellules myélomateuses dans la moelle osseuse. Au stade I de la maladie ou en cas de plasmocytome solitaire, on effectue une biopsie directe de la masse tumorale.</p> <p>L'analyse des chromosomes (test cytogénétique) peut révéler des anomalies chromosomiques par le biais d'analyses directes et/ou en FISH.</p> |
| <p>Analyses sanguines</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Numération et formule sanguines (NFS) 2. Examens biochimiques 3. Analyses spéciales des protéines <ul style="list-style-type: none"> • Électrophorèse des protéines sériques (SPEP) • Immunofixation • Test FREELITE™ | <ul style="list-style-type: none"> • Pour déterminer la présence/sévérité de l'anémie • Pour déterminer une numération leucocytaire basse • Pour déterminer une numération plaquettaire basse • Particulièrement important pour déterminer l'état des reins (créatinine et urée/BUN), albumine, calcémie, et LDH. • Indique la présence de la protéine monoclonale du myélome. • La quantité de protéines myélomateuses anormales. • Indique le type de protéine du myélome : chaîne lourde (G, A, D ou E), chaîne légère, kappa (κ), lambda (λ). • Peut être utilisé pour mesurer la quantité de kappa libre ou lambda en absence d'anomalies SPEP ou UPEP (voir ci-dessous). |

TABLEAU 7 : TESTS DE RÉFÉRENCE (suite)

| TEST | OBJECTIF |
|---|--|
| <p>Analyse d'urine Analyse protéinique identique à l'analyse sérique ci-dessus :</p> <ul style="list-style-type: none"> • Électrophorèse des protéines urine (UPEP) • Immunofixation | Indique la présence, la quantité et le type de protéine anormale du myélome dans l'urine. |
| <p>Analyse osseuse</p> <p>Radiographie</p> | <p>Pour établir la présence, la sévérité et localiser l'atteinte de l'os.</p> <p>La radiographie reste la référence pour rechercher l'atteinte de l'os due au myélome. Une recherche complète d'un myélome sur un squelette par le biais de la radiographie est nécessaire pour identifier une perte ou une diminution de la densité osseuse (ostéoporose ou ostéopénie provoquée par la destruction de l'os due au myélome), des lésions lytiques, et/ou des fractures des os ou un tassement de vertèbre.</p> |
| IRM | Utilisé lorsque la radiographie est négative et/ou pour procéder à une analyse plus détaillée de certaines zones comme la colonne vertébrale et/ou le cerveau. Peut révéler la présence et la diffusion de la maladie dans la moelle osseuse lorsque la radiographie ne montre aucune anomalie osseuse. Permet également d'identifier la maladie en dehors de l'os, qui peut produire une pression sur les nerfs et/ou la moelle épinière. |
| CT Scan (Myélo-scanner) | Utilisé lorsque la radiographie est négative et/ou pour une analyse plus détaillée de certaines zones. Particulièrement utile pour une évaluation détaillée de zones réduites d'atteinte osseuse ou de compression nerveuse. |
| Imagerie médicale nucléaire | Scintigraphie couramment utilisée pour les autres types de cancers. <i>Inutile pour le myélome et ne doit pas être effectuée.</i> |
| FDG/PET Scan | Technique d'imagerie bien plus sensible de l'ensemble du corps. Utile pour contrôler la maladie, particulièrement dans le cas d'une maladie non sécrétante. |
| Analyse de la densité osseuse | Utile pour établir la sévérité d'une perte osseuse diffuse en cas de myélome et pour mesurer l'amélioration séquentielle avec une thérapie au bisphosphonate. |

TRAITEMENT DU MYÉLOME

Le choix d'un traitement est la décision de départ la plus importante. Comme nous l'avons souligné, il est primordial de procéder à des tests de référence, à la classification pronostique de la maladie. Un traitement est recommandé en cas de myélome actif ou symptomatique. L'urgence du traitement dépend des problèmes précis rencontrés par le patient.

TABLEAU 8 : BUTS DU TRAITEMENT DU MYÉLOME

| TYPE DE TRAITEMENT | OBJECTIF | EXEMPLES | MOMENT DE LA PRISE DE DÉCISION |
|-------------------------------|--|--|-------------------------------------|
| Stabilisation | Contrer les troubles de l'équilibre biologique du corps et les troubles du système immunitaire mettant en jeu le pronostic vital | <ul style="list-style-type: none"> • Plasmaphérèse pour éclaircir le sang et éviter une attaque • Hémodialyse en cas d'insuffisance rénale • Médicaments pour réduire l'hypercalcémie (peut inclure une chimiothérapie) | De quelques heures à quelques jours |
| Palliatif | Soulager l'inconfort et accroître la capacité du corps du patient à fonctionner | <ul style="list-style-type: none"> • Irradiation pour freiner la destruction osseuse • Érythropoïétine pour soulager l'anémie • Chirurgie orthopédique pour réparer et/ou renforcer l'os | De quelques jours à quelques mois |
| Déclenchement de la rémission | Améliorer les symptômes, ralentir ou stopper le cours de la maladie | <ul style="list-style-type: none"> • Thérapie pour tuer les cellules malignes dans tout le corps • Irradiation pour tuer les cellules malignes sur une tumeur | Quelques semaines à quelques mois |
| Curatif | Rémission permanente* | <ul style="list-style-type: none"> • Greffe de moelle osseuse comme moyen d'apporter une chimiothérapie intensive | Quelques semaines à quelques mois |

**Même si elle n'a jamais été atteinte ni confirmée, la rémission permanente demeure l'objectif de nombreux traitements expérimentaux*

THÉRAPIE INITIALE OU THÉRAPIE DE PREMIÈRE INTENTION

Il est important pour les patients de prendre le temps de discuter des options possibles avec leur hématologue ou hématologue/oncologue. En complément des résultats des tests de référence, il convient de prendre en compte les éléments suivants :

- Quel est l'impact du myélome sur l'état quotidien du patient ?
- Le patient sera-t-il en état de travailler ? A-t-il la possibilité de s'absenter de son travail s'il a besoin de suivre un traitement ?
- Quel est l'âge du patient ? A-t-il d'autres problèmes médicaux ?
- Le patient peut-il tolérer la chimiothérapie ?
- Une chimiothérapie intensive avec greffe de cellules souches est-elle une option possible ?
- La réponse positive au traitement et la rapidité de réponse au traitement varient d'un patient à l'autre.
- Toutes les décisions concernant le traitement doivent être mûrement réfléchies.
- Il est généralement préférable de réserver la possibilité d'une greffe de cellules souches si vous avez le sentiment que cela peut être une future option possible pour vous.
- Même si des essais cliniques de première intention sont disponibles, vous devez être parfaitement conscient que l'on vous prescrira aléatoirement un traitement par rapport à un autre. Il est possible que l'accès à une randomisation future et à des traitements futurs vous soit « fermé ». Assurez-vous d'avoir bien compris toutes les implications du protocole.
- **Si un traitement n'est pas efficace, cela ne signifie pas qu'un autre traitement ne le sera pas et ne pourra pas apporter une excellente rémission.**

TABLEAU 9A : OPTIONS DE THÉRAPIE INITIALE (admissible à une greffe)

| THÉRAPIE INITIALE | AVANTAGES | INCONVÉNIENTS |
|--|--|--|
| VAD (Vincristine/ Adriamycine/ Dexaméthasone) | <ul style="list-style-type: none"> • Produit une rémission chez 70% des patients • N'endommage pas les cellules souches saines • Peut constituer la base d'une greffe de cellules souches | <ul style="list-style-type: none"> • Nécessite la pose d'un cathéter à passage central pour administration intraveineuse. Le cathéter peut apporter des complications comme des infections et des caillots de sang. • La vincristine peut provoquer des neuropathies |
| Dexaméthasone plus Thalidomide* | <ul style="list-style-type: none"> • Approche orale produisant une rémission chez 70% des patients • Nouvelle référence pour l'induction au long cours | <ul style="list-style-type: none"> • Neuropathies et thrombose de la veine cave (caillots) constituent des risques potentiels |
| Dexaméthasone seule* | <ul style="list-style-type: none"> • Un pourcentage important des résultats obtenus avec le protocole VAD provient des pulses de la dexaméthasone seule | <ul style="list-style-type: none"> • Dans un traitement intensif, la dexaméthasone peut ne pas être bien tolérée |
| R ou RD ou Rd (Revlimid®)* (Revlimid® seul, avec Dexaméthasone, ou Revlimid® avec Dexaméthasone – faible dose) | <ul style="list-style-type: none"> • Bons résultats • Voie orale • Habituellement bien toléré et de plus en plus populaire • Peut être prescrit avec ou sans intention de greffe | <ul style="list-style-type: none"> • Revlimid® seul peut être produire une réponse moins efficace • Risque de caillots sanguins avec Revlimid®, aspirine ou un autre anticoagulant est nécessaire • Possibilité d'une basse numération sanguine |
| VELCADE®** | <ul style="list-style-type: none"> • Bénéfices remarquables • Beaucoup de combinaisons disponibles | <ul style="list-style-type: none"> • Produit des neuropathies partiellement ou complètement réversibles dans ce cadre |
| VTD (VELCADE®/Thalidomide/Dexaméthasone) | <ul style="list-style-type: none"> • Taux de réponse très élevé lors des essais cliniques • Bons résultats après la greffe | <ul style="list-style-type: none"> • Combinaison intraveineuse • Possibilité d'effets secondaires neuro-pathiques |
| Combinaisons de VELCADE® les plus complexes (avec Revlimid®, Doxil®, ou d'autres agents) | <ul style="list-style-type: none"> • Excellents taux de réponse | <ul style="list-style-type: none"> • Combinaisons intraveineuses • Toxicité plus élevée et incertitudes au sujet des bienfaits connexes |

* Peut être prescrit avec ou sans intention de cueillette et de greffe

**En Septembre 2008, l'approbation de VELCADE® a été élargie afin d'inclure les patients atteints de myélome n'ayant jamais été traités

TABLEAU 9B : OPTIONS DE THÉRAPIE INITIALE (non admissible à une greffe)

| THÉRAPIE INITIALE | AVANTAGES | INCONVÉNIENTS |
|--|---|---|
| MP (Melphalan [Alkérán]/ Prednisone) | <ul style="list-style-type: none"> Voie orale Bien toléré Environ 60% des patients obtiennent une rémission excellente Les médecins connaissent bien ce protocole | <ul style="list-style-type: none"> Peut provoquer un endommagement des cellules souches de la moelle osseuse et, par conséquent, réduire les chances de réussite d'une greffe de cellules souches Les bénéfices du traitement sont pleinement obtenus après quelques mois N'est pas idéal si une réponse immédiate est nécessaire et/ou si une greffe de cellules souches est prévue |
| Dexaméthasone plus Melphalan (Alkérán) | <ul style="list-style-type: none"> En combinaison avec le melphalan, produit un bénéfice plus rapide que la thérapie MP | <ul style="list-style-type: none"> Provoque un endommagement des cellules souches de la moelle osseuse Dexaméthasone peut être difficile pour les patients plus âgés |
| MPT (MP + Thalidomide) | <ul style="list-style-type: none"> Voie orale Bien toléré Taux de rémission plus élevé que pour la thérapie MP | <ul style="list-style-type: none"> Même que pour la thérapie MP La thalidomide était associée à des risques de neuropathie et/ou de caillots sanguins (DVT) |
| VMP (MP + VELCADE®) | <ul style="list-style-type: none"> Bien toléré Pas de risque de caillots sanguins Taux de rémission plus élevé que pour la thérapie MP | <ul style="list-style-type: none"> Même que pour la thérapie MP VELCADE® est une thérapie intraveineuse Risque de neuropathie |
| MPR (MP + Revlimid®) | <ul style="list-style-type: none"> Voie orale Bien toléré | <ul style="list-style-type: none"> Risque de caillots sanguins avec Revlimid®, aspirine ou un autre anticoagulant est nécessaire |
| D'autres thérapies sont parfois utilisées comme le Cytosan® (cyclophosphamide) et l'Etoposide® (VP-16). Les combinaisons possibles incluent : <ul style="list-style-type: none"> • VBMCP (protocole M2) • VMCP/VBAP (protocole SWOG) • ABCM (protocole UK MRC) | <ul style="list-style-type: none"> La combinaison permet une approche plus agressive si nécessaire Les symptômes d'une maladie active peuvent être contrôlés très rapidement et la qualité de la première rémission peut s'en trouver améliorée | <ul style="list-style-type: none"> D'avantage d'effets secondaires que les régimes simples Pas davantage de bénéfices à long terme Les effets secondaires peuvent à la fois réduire la qualité de vie et compromettre l'éligibilité pour de nouveaux protocoles |

TRAITEMENT DE SOUTIEN

Des traitements sont disponibles pour soulager l'impact physique et émotionnel de la maladie. Il est tout aussi important de faire appel à des traitements de soutien que d'entamer une thérapie de première intention.

TABLEAU 10 : TRAITEMENT DE SOUTIEN

| SYMPTÔME | TRAITEMENT | COMMENTAIRES |
|---|--|--|
| Fatigue et asthénie dues à l'anémie | <ul style="list-style-type: none"> • Transfusion sanguine (érythrocytes conservés : leucoréduction, inactivation des virus) si anémie sévère • Érythropoïétine si anémie légère à modérée | Les traitements sont simples et généralement très efficaces. Ils améliorent le sentiment de bien-être. |
| Douleur osseuse | <ul style="list-style-type: none"> • Bisphosphonate : Aredia® 90 mg par voie intraveineuse pendant 2–4 heures par mois ; Zometa® 4 mg par voie intraveineuse pendant 15–45 minutes par mois • Médication anti-douleur selon la nécessité : Tylenol®, dérivatifs morphiniques par voie orale, Fentanyl® « patch antidouleur » | Il est important de soulager la douleur osseuse en elle-même. Cela améliore l'activité physique qui favorise à son tour le renforcement et la guérison de l'os et améliore le bien-être émotionnel. L'endommagement potentiel des reins et des mâchoires, peu fréquent, peut provenir d'une thérapie bisphosphonate chronique. La sensibilisation constitue la clé de la prévention. |
| Fièvre et/ou indications d'infection | <ul style="list-style-type: none"> • Antibiotiques appropriés • Neupogen® si nécessaire pour stimuler la numération leucocytaire. • Gamma globuline par voie intraveineuse pour les infections sévères • Les analyses nécessaires pour établir le diagnostic du type exact d'infection (excepté pour les biopsies/cultures dangereuses) doivent être effectuées. | Bien que les antibiotiques doivent être utilisés avec précaution, il est extrêmement important de contrôler rapidement les infections. Il est recommandé d'avoir un antibiotique à portée de main (particulièrement si vous voyagez). |

Au-delà de la gestion des symptômes spécifiques, il est primordial de prendre en compte un certain nombre de précautions de soutien :

- **Activité physique** – Il est recommandé aux patients de consulter leur médecin pour déterminer si une activité physique est possible ou si des aménagements doivent être apportés en raison d'une maladie osseuse et de zones osseuses particulières atteintes. En règle générale, une activité physique comme un programme de marche ou de natation, des exercices d'assouplissement ou de musculation et/ou un programme de yoga personnalisé, peuvent être mis en place.
- **Régime** – Aucun régime particulier n'a été établi pour les patients atteints de myélome. Dans ce domaine, la recherche est en cours. D'une manière générale, le « régime sain » recommandé pour d'autres maladies comme les maladies cardiaques et le cancer en général (cancer du sein) peut être utilisé. Une attention particulière doit être apportée dans deux domaines :
- **Vitamine C** – Des doses élevées (> 1.000 mg/jour) peuvent être néfastes chez les patients atteints de myélome et accroître les risques d'insuffisance rénale.
- **Suppléments à bases de plantes médicinales et suppléments vitaminés** – Parlez avec votre médecin des risques pouvant être engendrés par ces suppléments au cours d'une chimiothérapie ou d'autres traitements. Les interactions médicamenteuses peuvent engendrer des problèmes médicaux.
- **Santé mentale** – Votre santé mentale est primordiale à mesure que vous avancez dans votre traitement. Assurez-vous d'être à l'aise avec le traitement programmé. N'hésitez pas à prendre rendez-vous avec un psychologue si vous ressentez un sentiment de dépression ou si des personnes de votre entourage sont inquiètes pour vous à ce sujet.
- **Rythme de sommeil régulier** – Ceci est très important pour votre système immunitaire.
- **Faites des aménagements** – Dans la mesure du possible, réduisez ou éliminez le stress sur votre lieu de travail, en famille ou en société. La gestion du myélome est la priorité essentielle jusqu'à la rémission et/ou le retour à une situation stable.

SI LA THÉRAPIE INITIALE NE MARCHE PAS

Il existe de nombreuses options de traitement en dehors de celles indiquées dans ce manuel élémentaire. De nouvelles thérapies sont régulièrement mises sur le marché et peuvent apporter des bénéfices importants.

Pour obtenir davantage d'informations et vous renseigner sur les mises à jour régulières, veuillez visiter le site Internet de l'IMF à l'adresse www.myeloma.org ou appeler l'IMF à +1-818-487-7455 aux Etats-Unis.

QUELQUES QUESTIONS À POSER À VOTRE MÉDECIN

Le choix d'un traitement est extrêmement important pour la survie et la qualité de vie du patient atteint de myélome. Pour prendre une décision réfléchie, le patient a besoin de connaître tous les aspects liés au traitement. Certains patients éprouvent le besoin de parler de tous les aspects de leur situation, du traitement et du pronostic. D'autres éprouvent simplement le besoin de savoir ce qu'ils doivent faire ensuite. Les médecins sont sensibles à ces questions et leur approche variera selon la perception qu'ils ont des attentes du patient.

Nous encourageons les patients à donner avec précision le niveau de détails qu'ils souhaitent connaître concernant la décision de traitement. Et, quel que soit le degré de confiance du patient pour son médecin, il est généralement préférable d'avoir plusieurs avis avant de prendre une décision.

1. Demandez une description complète du programme de traitement :

- **En quoi consiste exactement le traitement ?**
- **Quels sont les objectifs du traitement ?**

- **Combien de temps durera le traitement ?**
- **Ce qui est impliqué ?** Quelle sera la fréquence des visites chez un médecin ou à l'hôpital ? L'hospitalisation est-elle nécessaire ou probable ? Quel est l'impact probable sur la capacité fonctionnelle du patient, notamment dans son travail et dans ses loisirs ? Comment les patients se sentent-ils avant, pendant et après le traitement ? Quel est l'impact du traitement sur l'aspect physique des patients ? En combien de temps, en moyenne, le patient est-il rétabli ?
- **Quels programmes de suivi et de contrôle sont nécessaires ?**
- **Combien coûte le traitement ?** Sera-t-il pris en charge par la Sécurité Sociale ?

2. Ce traitement a-t-il bien marché pour d'autres patients dans des situations similaires ? L'efficacité du traitement est évaluée de différentes façons :

- **Depuis combien de temps le traitement existe-t-il ?** Combien de patients l'ont-ils reçu ? Combien de temps ces patients ont-ils été suivis après le traitement ?
- **Quelles sont les probabilités d'arriver à une rémission complète ou partielle ?** Quels sont les facteurs susceptibles d'augmenter ou de réduire les chances de rémission ?
- **Combien de temps ont duré les rémissions des patients ?** Quels facteurs sont liés à des rémissions de longue durée et à des rémissions de courte durée ?
- **Quelles seraient les alternatives de traitement en cas de rechute ?** (Ces alternatives sont susceptibles de changer entre-temps)
- **Quelles sont les perspectives plausibles pour soulager les symptômes comme la douleur osseuse, les fractures pathologiques, l'anémie, la fatigue, l'hypercalcémie ?** Quels sont les facteurs pronostiquant que ces traitements supprimeront les symptômes ?
- **Combien de temps ont survécu les patients ayant reçu le traitement ?** Pour les nouveaux traitements, parmi le groupe de patients ayant reçu le traitement, combien sont toujours en vie ?

3. Comme la plupart des traitements anticancéreux, les traitements du myélome font intervenir des médicaments toxiques et d'autres préparations destinés à détruire les

cellules malignes et/ou à stabiliser à nouveau l'équilibre biologique du corps. **Ils sont généralement accompagnés d'effets secondaires.** Certains se manifestent en cours de traitement. D'autres peuvent se déclencher après l'arrêt du traitement.

- **Quels sont les effets secondaires observés chez les patients recevant le traitement ?** Quand se manifestent-ils généralement ? Chez quel pourcentage de patients se produisent-ils ? Les effets secondaires sont-ils graves ? Constituent-ils un risque vital ? Sont-ils douloureux ? Sont-ils permanents ? Combien de temps durent-ils ?
- **Existe-t-il des traitements pour les effets secondaires ?** Les traitements pour les effets secondaires ont-ils des effets secondaires ?

4. **Il existe toujours des alternatives.** Vous devez poser toutes ces questions pour chaque alternative de traitement :

- Quelles sont les alternatives au traitement recommandé ?
- Quels sont les avantages et les inconvénients relatifs aux alternatives de traitement ?
- Quels sont les avantages et les inconvénients des traitements alternatifs par rapport à l'absence de traitement ?

Le myélome étant une maladie rare, peu de médecins et de centres médicaux sont spécialisés dans cette maladie. Il est très courant qu'un patient atteint de myélome demande un deuxième avis auprès d'un spécialiste ou d'un centre de recherche tout en faisant confiance à un médecin référant pour la prescription et le suivi de son traitement.

Prendre les bonnes décisions concernant un traitement nécessite d'être bien documenté, de poser des questions précises, une réflexion approfondie et de la confiance. Mais il est primordial que le patient et son groupe de soutien assument la responsabilité du processus.

Comme il n'existe aucun remède, qu'il n'y a aucune garantie de guérison et que chaque cas est particulier, la décision ultime dépend des préférences et des priorités du patient.

TERMES et DÉFINITIONS

ADN : Substance de l'hérédité. Grosse molécule portant l'information génétique dont les cellules ont besoin pour se répliquer et produire des protéines.

Agent alkylant : Agent chimiothérapeutique comme le melphalan ou le cyclophosphamide. Le terme « alkylant » se rapporte à la manière dont ces agents contribuent au « cross-link » de l'ADN des cellules myélomateuses et bloquent la division des cellules.

Agent antiémétique (ou antiémétisant) : Médicament empêchant ou contrôlant les nausées et les vomissements.

Agent antifongique : Médicament utilisé dans le traitement des infections fongiques.

Agent antinéoplastique : Médicament empêchant, tuant ou bloquant la croissance et le développement des cellules cancéreuses.

Aigu : Apparition soudaine de symptômes ou d'une maladie.

Albumine : Protéines simples hydrosolubles présentes dans le sérum sanguin et le sérum de nombreux autres tissus animaux ou végétaux.

Allogénique : voir « Transplantation (ou greffe) »

Amyloïdose : Condition dans laquelle les chaînes légères du myélome (protéines de Bence Jones) sont déposées dans les tissus et les organes. Cela se produit plus avec les protéines lambda qu'avec les protéines kappa de Bence Jones. Chez les patients présentant une amyloïdose, les protéines de chaînes légères se fixent sur certains tissus comme le cœur, les nerfs et les reins plutôt que d'être excrétées de l'organisme par les reins.

Analésique : Tout médicament qui soulage la douleur. L'aspirine et l'acétaminophen sont des analésiques légers.

Analogue : Composé chimique de structure similaire à un autre, mais dont la composition est légèrement différente.

Anémie : Diminution du nombre normal des hématies (globules rouges) généralement inférieur à 10g/dL, 13-14 g/dL étant le niveau normal. Le myélome de la moelle osseuse bloque la production d'hématies, provoquant un essoufflement, une asthénie et une fatigue.

Anesthésie : Perte de la sensibilité ou de la conscience. L'anesthésie locale produit une perte de la sensibilité d'une partie du corps. L'anesthésie générale met la personne en état de sommeil.

Angiogenèse : Formation de vaisseaux sanguins, accompagnant généralement le développement de tissus malins dont le myélome.

Antibiotiques : Médicaments utilisés pour traiter une infection.

Anticorps : Protéine produite par certains leucocytes (plasmocytes) pour combattre une infection ou une maladie sous forme d'antigènes : bactéries, virus, toxines ou tumeurs. Chaque anticorps peut se fixer uniquement sur un antigène spécifique. Le but de cette fixation est de contribuer à détruire l'antigène. Les anticorps peuvent agir de plusieurs façons selon la nature de l'antigène. Certains anticorps neutralisent directement l'antigène. D'autres rendent l'antigène plus vulnérable à la destruction par d'autres types de leucocytes.

Anticorps monoclonaux : Anticorps artificiels spécialement conçus pour détecter et se fixer sur les cellules cancéreuses à des fins de diagnostic ou de traitement. Ils peuvent être utilisés seuls ou pour transporter des médicaments, des toxines ou des matériaux radioactifs directement dans les cellules tumorales.

Antigène : Toute substance étrangère (bactérie, virus, toxine ou tumeur) qui, lorsqu'elle est introduite ou se développe dans l'organisme, amène le système immunitaire à produire des anticorps naturels.

Apoptose : Processus cellulaire normal impliquant des séries d'événements programmés conduisant à la mort d'une cellule.

ARN (acide ribonucléique) : Chacun des divers acides nucléiques liés au contrôle de l'activité chimique cellulaire. L'ARN est l'un des deux acides nucléiques présents dans toutes les cellules – l'autre étant l'ADN (acide désoxyribonucléique). L'ARN transfère l'information génétique de l'ADN vers les protéines produites par les cellules.

Aspiration : Processus consistant à retirer un fluide ou un tissu, ou les deux, d'une zone spécifique.

Aspiration de moelle osseuse : Prélèvement, au moyen d'une aiguille, d'un échantillon de fluide et de cellules de la moelle osseuse pour un examen au microscope.

Basophile : Type de leucocyte. Les basophiles sont des granulocytes.

Bence Jones : Protéine du myélome présente dans l'urine. La protéine de Bence Jones est exprimée en grammes par 24 heures. Normalement, une très petite quantité de protéine (<0.1 g/24 h) peut être présente dans l'urine, mais il s'agit d'albumine plutôt que de la protéine de Bence Jones. La présence de toute protéine de Bence Jones est anormale.

Bénin : Non cancéreux, qui n'envahit pas les tissus environnants ou ne se propage pas à d'autres parties du corps. La MGUS est un état bénin.

Beta 2 microglobulin ($\beta 2M$) : Petite protéine présente dans le sang. Des niveaux élevés apparaissent chez les patients atteints d'un myélome actif. Des niveaux bas ou normaux apparaissent chez les patients atteints d'un myélome précoce et/ou inactif. Environ 10% des patients ont un myélome ne produisant pas de $\beta 2M$. On ne peut pas utiliser l'analyse de $\beta 2M$ pour contrôler la maladie chez ces patients. En période de rechute, la $\beta 2M$ peut augmenter avant la variation du niveau de la protéine du myélome. Par conséquent, dans 90% des cas, la $\beta 2M$ est très utile pour déterminer l'activité de la maladie.

Biopsie : Prélèvement d'un échantillon de tissu pour un examen microscopique afin de faciliter le diagnostic.

Biopsie de la moelle osseuse : Prélèvement, au moyen d'une aiguille, d'un échantillon de tissu osseux. Les cellules sont contrôlées pour déterminer si elles sont cancéreuses. Si des plasmocytes cancéreux sont détectés, le pathologiste évalue le niveau d'affection de la moelle osseuse. La biopsie de la moelle osseuse est généralement effectuée en même temps que l'aspiration de la moelle osseuse.

Bisphosphonate : Type de médicament se fixant sur la surface de l'os où il est résorbé (ou détruit) et protège l'os de l'activité des ostéoclastes.

BUN (Azote uréique) : Mesure du niveau d'urée dans le sang. L'urée est évacuée par les reins. Le BUN est un test sanguin indiquant le fonctionnement des reins. Les maladies comme le myélome, qui compromettent la fonction rénale provoquent souvent des niveaux élevés d'azote uréique.

Calcium : Minéral essentiellement présent dans la partie dure de la matrice osseuse ou hydroxyapatite.

Cancer : Terme désignant des maladies dans lesquelles les cellules malignes se divisent de manière anarchique. Les cellules cancéreuses peuvent envahir les tissus environnants et passer dans le sang et le système lymphatique pour atteindre d'autres parties du corps.

Carcinogène : Toute substance ou agent produisant ou stimulant la croissance cancéreuse.

CAT Scan ou CT Scan (Tomodensitométrie axiale) : Test utilisant un faisceau de rayons X pour créer des images des organes et des structures de l'intérieur du corps, en trois dimensions, il est utilisé pour détecter des zones réduites d'anomalie osseuse ou des tissus mous impliqués.

Cathéter : Tube placé dans un vaisseau sanguin pour fournir un passage aux médicaments ou aux nutriments. Un cathéter veineux central est un tubage spécial inséré chirurgicalement dans une grosse veine à proximité du cœur et qui ressort dans le thorax ou l'abdomen. Le cathéter permet d'administrer des médicaments, des fluides ou des produits sanguins et de prélever des échantillons sanguins.

Cellules B : Leucocytes (globules blancs) se développant dans les plasmocytes présents dans la moelle osseuse et qui produisent des anticorps. Également appelées lymphocytes B.

Cellule : Unité de base de tout organisme vivant.

Cellules sanguines : Structures microscopiques produites dans la moelle osseuse. Elles incluent les hématies (globules rouges), les leucocytes (globules blancs) et les plaquettes.

Cellules souches : Cellules immatures à partir desquelles toutes les cellules sanguines se développent. Des cellules souches saines donnent des composants sanguins sains, dont les hématies, les leucocytes et les plaquettes. Les cellules souches sont normalement situées dans la moelle osseuse et peuvent être prélevées pour une greffe.

Chaînes légères libres : Partie de la protéine monoclonale de faible poids moléculaire pouvant être mesurée par un test sensible, le test Freelite®.

Chambre implantable : Cathéter relié à un petit disque placé chirurgicalement juste au-dessous de la peau dans le thorax ou l'abdomen. Le cathéter est inséré dans une grosse veine ou artère directement dans le sang. Les fluides, les médicaments ou les produits sanguins peuvent être perfusés et le sang peut être prélevé à l'aide d'une aiguille enfoncée dans le disque.

Chimiothérapie : Traitement du cancer avec des médicaments tuant toutes les cellules à division rapide.

- *Chimiothérapie de combinaison* – Utilisation de plusieurs médicaments donnés dans un régime de chimiothérapie durant le traitement d'un cancer.

Chromosome : Structure constituée d'ADN et de protéines, présente dans le noyau d'une cellule. Les chromosomes portent les gènes et jouent un rôle dans la transmission de l'information génétique. Les cellules humaines contiennent normalement 46 chromosomes.

Chronique : Persistant durant une longue période.

Classification : Effectuer des examens et des tests pour connaître l'étendue du cancer dans l'organisme.

Clinique : Impliquant l'observation directe d'un patient.

Consentement éclairé : Processus nécessitant que le médecin informe suffisamment un patient sur une procédure de traitement qu'il lui propose, afin que le patient prenne une décision éclairée pour entamer ou non cette procédure de traitement. En plus de fournir toutes les explications sur la procédure de traitement, le médecin doit aborder toutes les questions concernant les risques, les avantages, les alternatives et les coûts potentiels.

Créatinine : Petit composé chimique normalement filtré par les reins. En cas d'insuffisance rénale, le niveau de créatinine sérique augmente, résultant en un taux élevé de créatinine sérique. Le test de créatinine sérique est utilisé pour mesurer la fonction rénale.

Cytokine : Substance sécrétée par les cellules du système immunitaire, stimulant la croissance et l'activité d'un type particulier de cellules. Les cytokines sont produites localement (dans la moelle osseuse) et circulent dans le sang.

Dexaméthasone : Corticostéroïde puissant administré seul ou avec d'autres médicaments.

Diagnostic : Processus d'identification d'une maladie par ses signes et ses symptômes.

Dialyse : Lorsque les reins d'un patient sont incapables de filtrer le sang, le sang est nettoyé en le faisant passer dans une machine de dialyse.

Différenciation cellulaire : Processus dans lequel les cellules jeunes et immatures (non spécialisées) prennent leurs caractéristiques individuelles et atteignent leur forme et leur fonction matures (spécialisées).

DLT (Dose limitante toxique) : Effets secondaires suffisamment graves pour arrêter le traitement.

Effets secondaires : Problèmes dus aux médicaments pris lors du traitement d'une maladie. Les effets secondaires courants de la chimiothérapie du cancer sont la fatigue, des nausées, des vomissements, une baisse de la numération formule sanguine (NFS), la perte des cheveux et des aphtes.

Efficacité potentielle : Pouvoir de produire un effet. Dans le cadre de la recherche pour le cancer, « efficacité potentielle » se rapporte à l'efficacité du traitement.

Électrophorèse : Test effectué en laboratoire, dans lequel le sérum (sang) du patient ou les molécules de l'urine du patient sont soumis à une séparation en fonction de leur taille et de leur charge électrique. Pour les patients atteints de myélome, l'électrophorèse sérique ou urinaire permet à la fois d'évaluer la quantité de la protéine du myélome (protéine M) et d'identifier la caractéristique du « pic monoclonal » de chaque patient. L'électrophorèse sert à la fois d'outil de diagnostic et d'outil de contrôle.

Enzyme : Substance affectant le niveau auquel les modifications chimiques se déroulent dans l'organisme.

Érythrocytes : Hématies (globules rouges). Les hématies transportent l'oxygène dans les cellules et en évacuent le gaz carbonique.

Érythropoïétine : Hormone produite par les reins. Les patients atteints de myélome avec insuffisance rénale ne produisent pas suffisamment d'érythropoïétine et peuvent devenir anémiques. Des injections d'érythropoïétine synthétique peuvent aider à pallier l'insuffisance rénale. La transfusion sanguine est une autre alternative, particulièrement en cas d'urgence. L'érythropoïétine synthétique est utilisée en prophylaxie avant une chimiothérapie et comme thérapie de soutien après une chimiothérapie pour éviter l'anémie.

Essai clinique : Étude portant sur la recherche de nouveaux traitements, impliquant des patients. Chaque étude est conçue pour trouver de meilleurs moyens de prévenir, détecter, diagnostiquer ou traiter le cancer et répondre aux questions scientifiques.

- *Groupe témoin* – Groupe de patients inclus dans un essai clinique randomisé, auquel on administre le traitement standard.
- *Critère d'évaluation* – Ce qu'un essai clinique tente de mesurer ou de découvrir, il s'agit du but de l'essai. En général, les critères d'évaluation englobent la mesure de la toxicité, le taux de réponse, et le taux de survie.
- *Groupe expérimental* – Groupe de patients inclus dans un essai randomisé, auquel on donne le nouveau traitement.
- *Essai clinique randomisé* – Étude de recherche dans laquelle on attribue au hasard un traitement particulier aux sujets.
- *Essai clinique de phase I* – Test conçu pour déterminer la dose maximale tolérée (MTD) pour un nouveau médicament ou une nouvelle combinaison de médicaments n'ayant jamais été testés sur l'être humain. Il s'agit, en général, du premier essai d'un nouveau traitement, bien que dans les essais cliniques de phase I concernant les thérapies de combinaisons, chaque médicament peut déjà avoir été testé avec succès. Les patients inclus dans les essais cliniques de phase I doivent être atteints d'un cancer avancé, réfractaire à tout traitement standard. Dans un essai clinique de phase I typique, on donne le traitement aux groupes successifs (« cohortes ») de 3 à 6 patients. Chaque patient d'une cohorte reçoit la même dose. Généralement, la première cohorte reçoit une dose très faible, et la dose est augmentée dans chaque cohorte jusqu'à ce qu'un échantillon de patients expérimente la dose limitante toxique (DLT). La dose utilisée pour la cohorte précédente est alors considérée comme la dose maximale tolérée. Cette dose est ensuite utilisée dans l'essai clinique de phase II.

- *Essai clinique de phase II* – Essai clinique conçu pour déterminer le taux de réponse d'une nouvelle thérapie ayant déjà été testée lors des essais cliniques de phase I. En général, on traite 14 à 50 patients atteints d'un type de cancer pour voir combien d'entre eux répondent au traitement. Les patients doivent généralement être atteints d'un cancer avancé, réfractaire à tout traitement standard. De plus, la maladie des patients doit être quantifiable. Si les résultats d'un essai clinique de phase II sont suffisamment prometteurs, le traitement peut être testé dans un essai clinique de phase III. Si les résultats s'avèrent nettement meilleurs que ceux du traitement standard, il n'est pas indispensable de passer à un essai clinique de phase III. Le traitement peut alors devenir le traitement standard basé sur les résultats de l'essai clinique de phase II.
- *Essai clinique de phase III* – Essai clinique conçu pour comparer deux ou plusieurs traitements pour un type et un stade de cancer donnés. Le critère d'évaluation d'un essai clinique de phase III est généralement la survie ou la rémission. Les essais cliniques de phase III sont généralement randomisés : les patients ne choisissent pas le traitement qu'ils reçoivent. Un essai clinique de phase III typique peut regrouper de 50 à plusieurs milliers de patients. Certains essais cliniques de phase III comparent un nouveau traitement ayant donné de bons résultats dans les essais cliniques de phase II avec un traitement standard plus ancien, ayant fait ses preuves. D'autres essais cliniques de phase III comparent des traitements déjà utilisés couramment. Certains traitements donnés lors d'essais cliniques de phase III peuvent être disponibles en dehors du cadre de l'essai clinique.

Étude DEXA (Absorptiométrie bi-photonique à rayons X) : Mesure la perte osseuse. Meilleure mesure de la densité osseuse.

Examen du squelette (étude métastatique) : Série de rayons X du crâne, de la colonne vertébrale, du thorax, du bassin et des os longs pour rechercher des lésions lytiques et/ou l'ostéoporose.

Fracture pathologique : Lésion d'un os généralement causée par le cancer ou un état dû à une maladie. Se produit sur les os affaiblis par le myélome, ne pouvant pas supporter un poids ou un stress normaux.

Gène : Séquence spécifique d'ADN ou d'ARN. Unité biologique de l'hérédité située sur un chromosome, présente dans toutes les cellules de l'organisme. Lorsque les gènes sont absents ou présentent une anomalie, le cancer peut se développer.

Génétique : Héritaire. En rapport avec l'information transmise des parents aux enfants à travers l'ADN des gènes.

Granulocyte : Type de leucocyte tuant les bactéries. Les neutrophiles, les éosinophiles et les basophiles sont des granulocytes.

Greffe : voir « Transplantation »

Hématies (érythrocytes) : Cellules du sang contenant l'hémoglobine, libérant l'oxygène dans toutes les parties du corps et transportant le dioxyde de carbone en dehors de toutes les parties du corps. La production d'hématies est stimulée par une hormone (érythropoïétine) produite par les reins. Les patients atteints de myélome avec insuffisance rénale ne produisent pas suffisamment d'érythropoïétine et peuvent devenir anémiques. Des injections d'érythropoïétine synthétique peuvent s'avérer utiles. La transfusion sanguine constitue une autre alternative, particulièrement en cas d'urgence. L'érythropoïétine est utilisée en prophylaxie avant une chimiothérapie et comme thérapie de soutien après une chimiothérapie pour éviter l'anémie.

Hématocrite (Hct) : Pourcentage d'hématies (globules rouges) dans le sang. Un taux faible d'hématocrite indique une anémie.

Hématologique : D'origine sanguine, ou disséminé par la circulation sanguine.

Hématologue : Médecin spécialisé dans les maladies du sang et de la moelle osseuse.

Herpes simplex : Virus fréquent provoquant des plaies, souvent autour de la bouche, il est fréquemment appelé bouton de fièvre.

Herpès zoster : Virus se fixant sur certains nerfs chez des patients ayant déjà eu la varicelle. Il provoque des vésicules, un enfllement et des douleurs. Il est aussi appelé zona.

Hormones : Substances chimiques produites par diverses glandes du corps pour réguler l'action de certaines cellules ou de certains organes.

Hypercalcémie : Niveau de calcémie sérique supérieur à la normale. L'hypercalcémie peut provoquer de nombreux symptômes, dont la perte d'appétit, des nausées, la soif, la fatigue, une faiblesse musculaire, l'agitation et la confusion. L'hypercalcémie est fréquente chez les patients atteints de myélome et résulte généralement de la destruction osseuse qui libère le calcium dans le sang. Elle s'associe souvent à une insuffisance rénale puisque le calcium peut être toxique pour les reins. C'est pourquoi on traite généralement l'hypercalcémie en urgence, en administrant des fluides par voie intraveineuse en combinaison avec des médicaments destinés à réduire la destruction osseuse, parallèlement à un traitement pour le myélome.

IgG, IgA : Les deux types de myélome les plus courants. G et A désignent le type de protéine produite par les cellules myélomateuses. La protéine du myélome, qui est une immunoglobuline, est constituée de deux chaînes lourdes (par exemple de type G) combinées à deux chaînes légères, kappa ou lambda. Par conséquent, les deux sous-types de myélome les plus courants ont des chaînes lourdes identiques : IgG kappa et IgG lambda). Les termes « légères » et « lourdes » désignent la taille ou le poids moléculaire de la protéine, les chaînes lourdes étant plus grosses que les chaînes légères. Les chaînes légères étant plus petites, elles sont plus susceptibles d'être évacuées dans l'urine, et donne la protéine de Bence Jones.

IgD, IgE : Deux types de myélomes moins fréquents.

IgM : Généralement associé à la macroglobulinémie de Waldenström. Dans des cas rares, peut être un type de myélome.

Immunodéficience : Diminution des capacités de l'organisme à combattre les infections et les maladies.

Immunofixation : Test immunologique du sérum ou de l'urine servant à identifier les protéines présentes dans le sang. Pour les patients atteints de myélome, ce test permet au médecin d'identifier le type de protéine M (IgG, IgA, kappa, ou lambda). Technique courante d'immunocoloration la plus sensible permettant d'identifier le type exact de chaînes légères et de chaînes lourdes de la protéine M.

Immunoglobuline (Ig) : Protéine produite par les plasmocytes. Elle joue un rôle important dans le système immunitaire. Les immunoglobulines se fixent aux substances étrangères (antigènes) et contribuent à leur destruction. Les différentes catégories d'immunoglobuline sont les suivantes : IgA, IgG, IgM, IgD et IgE.

Immunosuppression : Effondrement du système immunitaire diminuant sa capacité à combattre l'infection ou la maladie. L'immunosuppression peut être déclenchée (par exemple dans le cas d'une préparation de greffe de moelle osseuse pour empêcher le rejet par l'hôte du tissu du donneur) ou survenir suite à un traitement comme une chimiothérapie, dans le cadre du traitement du cancer.

Immunothérapie : Traitement stimulant les défenses naturelles de l'organisme pour combattre le cancer. Également appelée thérapie biologique.

Incidence : Nombre de nouveaux cas concernant une maladie, diagnostiqués chaque année.

Inhiber : Stopper quelque chose, afin de procéder à un contrôle.

Inhibiteurs de l'angiogénèse : Composants ayant pour action de supprimer l'alimentation sanguine des tumeurs.

Injection : Introduction d'une médication dans le corps à l'aide d'une seringue et d'une aiguille.

Interféron : Hormone naturelle (cytokine) libérée dans l'organisme en réponse à une infection ou à une maladie, qui stimule le développement de certaines cellules sanguines du système immunitaire combattant les maladies. L'interféron peut être produit artificiellement par des techniques d'ingénierie génétique et utilisé comme type d'immunothérapie, principalement dans la phase de maintenance (plateau) pour bloquer toute reprise du myélome et ainsi retarder ou empêcher les rechutes.

Interleukine : Substance chimique naturelle libérée dans l'organisme ou substance utilisée en thérapie biologique. Les interleukines stimulent le développement et l'activité de certains types de leucocytes. L'interleukine-2 (IL-2) est un type de modificateur de réponse biologique stimulant le développement de certaines cellules sanguines du système immunitaire pouvant combattre certains types de cancer. L'interleukine-6 (IL-6) est une cytokine stimulant fortement l'activité des ostéoclastes et des plasmocytes.

IRM (résistance magnétique imagée) : Test de diagnostic utilisant l'énergie magnétique plutôt que l'énergie des rayons X, pour produire des images détaillées des organes et de la structure intérieure du corps en deux ou en trois dimensions. L'IRM donne une résolution très précise des tissus mous, particulièrement des empiètements sur la moelle épinière, mais est moins précis pour les lésions osseuses. Kyste : Accumulation d'un fluide ou d'un matériau semi-solide dans une poche.

LDH : Lactate déshydrogénase, enzyme pouvant servir à contrôler l'activité d'un myélome.

Lésion : Zone de modification anormale d'un tissu. Tumeur ou abcès pouvant être provoqué par une blessure ou une maladie comme le cancer. Concernant le myélome, « lésion » peut désigner un plasmocytome ou un trou dans l'os.

Lésions lytiques : Zone endommagée d'un os, apparaissant comme un point noir sur une radiographie lorsqu'une partie suffisamment importante de l'os est rongée. Les lésions lytiques ressemblent à des trous dans l'os et sont la preuve de l'affaiblissement de l'os.

Leucocytes (globules blancs) : Terme général désignant une catégorie de cellules dont le rôle est de combattre les germes qui envahissent l'organisme, les infections et les allergènes. Ces cellules se développent dans la moelle osseuse puis migrent vers d'autres parties du corps. Les différentes catégories de leucocytes sont les neutrophiles, les granulocytes, les lymphocytes et les monocytes.

Leucopénie : Faible taux de leucocytes.

Lymphocytes : Leucocytes combattant l'infection ou la maladie.

Magroglobulinémie de Waldenström : Type rare de lymphome indolent affectant les plasmocytes et produisant des taux excessifs de protéine IgM. Il ne s'agit pas d'un type de myélome.

Maladie du greffon contre l'hôte (GVHD) : Réaction de la moelle osseuse du donneur sur le tissu du receveur.

Maladie progressive : Maladie dont l'aggravement est indiqué par des tests.

Maladie stable : Cet état décrit les patients ayant obtenu une réponse au traitement mais ayant une réduction <50% du taux de protéine du myélome. Si le myélome s'est stabilisé et ne progresse pas, la maladie stable n'est pas nécessairement mauvaise ni sub-optimale (en comparaison avec la rémission complète ou la rémission partielle). Avec un myélome de progression lente, la stabilisation peut durer plusieurs années.

Malin : Cancéreux. Capable d'envahir les tissus environnants et de s'étendre à d'autres parties du corps.

Marqueur de tumeur : Substance du sang ou d'autres fluides corporels pouvant suggérer qu'une personne est atteinte d'un cancer.

MDR (résistance à plusieurs médicaments) : Résistance au traitement standard, généralement associée à une résistance à l'Adriamycine et à la Vincristine, deux médicaments utilisés en chimiothérapie. La résistance est causée par une accumulation de glycoprotéine-P dans la membrane cellulaire extérieure de la cellule du myélome. Par conséquent, au lieu de s'accumuler dans la cellule myélomateuse pour la tuer, les médicaments sont rejetés en dehors de celle-ci.

Mélanome : Cancer des cellules pigmentaires de la peau ou de la rétine oculaire. Non associé au myélome malgré la sonorité similaire du nom.

Métastaser : S'étendre d'une partie du corps à une autre. Lorsque les cellules cancéreuses métastasent et forment des tumeurs secondaires, les cellules de la tumeur métastatique sont identiques à celles de la tumeur originale (primaire). Ce terme est couramment utilisé pour décrire le processus d'une maladie dans les cas de tumeurs solides (sein, prostate) et n'est pas utilisé dans le cas du myélome, qui est un type de cancer lié au sang.

MGUS (Gammopathie Monoclonale de Signification Indéterminée) : État bénin dans lequel la protéine M est présente, sans maladie sous-jacente.

Moelle osseuse : tissu mou et spongieux situé au centre des os, qui produit les leucocytes, les hématies et les plaquettes.

Molécule : Plus petite particule d'une substance, conservant toutes les propriétés de cette substance et composée d'un ou plusieurs atomes.

Monoclonal : Clone ou réplique d'une seule cellule. Le myélome se développe à partir d'un seul plasmocyte malin (monoclonale). Le type de protéine du myélome produite est également monoclonal et a une forme unique et non plusieurs formes (polyclonal). La particularité essentielle d'une protéine monoclonale est qu'elle apparaît comme un pic aigu (pic monoclonal) dans le sérum lors de l'électrophorèse.

Monocyte : Type de leucocyte.

MTD (dose maximale tolérée) : Dose la plus élevée d'un traitement pouvant être supportée sans danger par les patients.

Myéloïde : Se rapportant aux myélocytes, un type de leucocytes. On dit également myélogène. Le myélome multiple est un cancer non myéloïde.

Myélome asymptomatique : Myélome ne présentant aucun signe ou symptôme de la maladie. Appelé également myélome indolent, myélome couvant ou myélome précoce.

Myélosuppression : Chute de la production des hématies, des plaquettes et de certains leucocytes dans la moelle osseuse.

Néoplasie : Nouvelle répllication anormale des cellules.

Néoplasme : Nouvelle répllication des tissus ou des cellules. Tumeur pouvant être qualifiée de bénigne ou de maligne.

Neutropénie : Taux réduit de neutrophiles. La chimiothérapie cytotoxique tend à induire une neutropénie. A contrario, les lymphocytes, qui sont les plus importants dans les infections virales, tendent à ne pas être affectés par les traitements cytotoxiques. On peut prévenir ou réduire la neutropénie en utilisant une hormone synthétique appelée G-CSF, par exemple le Neupogen.

Neutrophile : Type de leucocytes utiles pour combattre l'infection bactérienne.

Numération sanguine : Quantité d'hématies, de leucocytes et de plaquettes dans un échantillon de sang.

Oedème : Enflent. Accumulation anormale d'un fluide dans une partie du corps.

Oncogène : Gène ou séquence d'ADN gérant normalement la croissance des cellules, mais pouvant également favoriser ou permettre le développement du cancer s'il/elle présente une anomalie (a muté) en raison d'une exposition à un environnement carcinogène, ou s'il/elle présente une anomalie ou est absent(e) en raison d'un défaut génétique. Gène ayant le potentiel de transformer une cellule saine en cellule cancéreuse.

Oncologue : Médecin spécialisé dans le traitement du cancer. Certains oncologues sont spécialisés dans un type particulier de traitement du cancer.

Ostéoblaste : Cellule produisant l'ostéoïde, qui se minéralise avec le calcium pour former un nouvel os dur.

Ostéocalcine sérique : Protéine produite et sécrétée par les ostéoblastes lors de la fabrication de l'ostéoïde. Un faible niveau d'ostéocalcine sérique indique un myélome actif. Un niveau supérieur au niveau normal indique un myélome stable.

Ostéoclaste : Cellule présente dans la moelle osseuse à la jonction de la moelle osseuse et de l'os, qui résorbe ou dissout l'os ancien. Dans le cas du myélome, les ostéoclastes sont sur stimulés alors que l'activité des ostéoblastes est bloquée. La combinaison de la résorption accélérée de l'os et du blocage de la formation d'un os neuf produit des lésions lytiques.

Ostéoïde : Substance protéinique se minéralisant avec le calcium pour former des os durs.

Nécrose mandibulaire : Maladie de la mâchoire, rare auparavant, aujourd'hui observée chez un petit pourcentage de patients prenant des bisphosphonates. Elle engendre une douleur, un enfllement et un endommagement de l'os autour des alvéoles dentaires. Elle se manifeste par les états suivants : nécrose ou perte osseuse pouvant aboutir à la perte des dents, extrémités pointues de l'os exposé, becs-de-perroquet, petits spicules d'os ou os mort pouvant s'échapper. Une définition de cas est ≥ 3 mois avec un os exposé sans guérison. Les symptômes peuvent ne pas être visibles au premier abord, ou peuvent se manifester par une douleur, un enfllement, un engourdissement, une sensation de « mâchoire lourde », ou la perte des dents.

Ostéoporose : Réduction de la densité osseuse, généralement associée à la vieillesse. L'implication diffuse des os atteints de myélome produit ce qui ressemble à de l'ostéoporose sur les radiographies et sur la mesure de la densité osseuse.

Pathologie : Étude d'une maladie par l'examen au microscope des tissus et des fluides de l'organisme. Un médecin spécialisé en pathologie est un pathologiste.

Perfusion : Introduction de fluides ou de médicaments dans le sang sur une certaine durée.

PET Scan (tomographie d'émission par neutron) : Test de diagnostic utilisant une caméra sophistiquée et un ordinateur pour produire des images du corps. Le PET scan montre la différence entre les tissus sains et les tissus fonctionnant de façon anormale.

Placebo : Substance inerte (inactive) souvent utilisée dans les essais cliniques à des fins de comparaison avec un médicament expérimental.

Plaquette : Un des trois principaux éléments du sang, les deux autres étant les hématies (globules rouges) et les leucocytes (globules blancs). Les plaquettes rebouchent les fissures dans la paroi des vaisseaux et libèrent des substances stimulant la coagulation sanguine. Les plaquettes constituent le principal outil de défense contre les saignements. Également appelées thrombocytes. Plasma : Partie liquide du sang dans laquelle les hématies, les leucocytes et les plaquettes sont suspendus.

Plasmaphérèse : Processus consistant à retirer certaines protéines du sang. Chez les patients atteints de myélome multiple, la plasmaphérèse peut être utilisée pour retirer un excès d'anticorps dans le sang.

Plasmocytes : Leucocytes spécifiques produisant des anticorps. Cellules malignes du myélome. Des plasmocytes sains produisent des anticorps destinés à combattre l'infection. Dans le cas du myélome, les plasmocytes malins produisent des quantités anormales d'anticorps n'ayant pas la capacité de combattre l'infection. Les anticorps anormaux sont des protéines monoclonales ou protéine M. Les plasmocytes produisent également d'autres substances chimiques pouvant provoquer des anomalies organiques et des anomalies tissulaires : anémie, insuffisance rénale, neuropathies.

Plasmocytome : Groupe de plasmocytes rassemblés à un seul endroit et non diffusés dans la moelle osseuse, les tissus mous ou l'os.

Pompe à perfusion : Dispositif permettant d'introduire des doses de fluides ou de médicaments dans le sang sur une certaine durée.

Précancéreux : Terme utilisé pour décrire un état qui peut ou est susceptible de se transformer en cancer.

Prolifération cellulaire : Accroissement du nombre de cellules résultant de la croissance et de la division cellulaire.

Pronostic : Issue ou déroulement projeté d'une maladie. Chances de guérir, espérance de vie.

Protéines M (pic monoclonal) : Anticorps ou parties d'anticorps présentes en quantités anormalement élevées dans le sang ou l'urine chez les patients atteints de myélome. « Pic monoclonal » fait référence au tracé électrophorétique de la protéine. Synonyme de protéine monoclonale et de protéine du myélome (voir « monoclonal »)

Protocole : Plan détaillé du traitement incluant le dosage et le planning de tous les médicaments utilisés.

Radiologue : Médecin spécialisé dans la création et l'interprétation d'images de l'intérieur du corps. Les images sont produites par rayons X, ondes sonores, champs magnétiques ou d'autres types d'énergie.

Radiothérapie : Traitement aux rayons X, rayons gamma ou électrons pour détériorer ou tuer les cellules malignes. Le rayonnement peut provenir de l'extérieur du corps (radiothérapie externe) ou de matériaux radioactifs placés directement dans la tumeur (brachythérapie).

Rayon X : Radiation électromagnétique de haute énergie utilisée à faible dose pour diagnostiquer des maladies et à forte dose pour traiter le cancer.

Rechute : Réapparition des signes et des symptômes d'une maladie après une période d'amélioration.

Recrutement : Processus d'inclure des patients dans des études de recherche clinique (essai), ou nombre de patients déjà inclus dans un essai ou pressentis pour être inclus dans un essai.

Récurrence : Réapparition d'une maladie après une période de rémission.

Réfractaire : Maladie ne répondant pas aux traitements standards.

Régression : Diminution de la croissance du cancer

Rémission : Durée pendant laquelle le patient survit sans cancer détectable.

Rémission ou réponse : Disparition complète ou partielle des signes et des symptômes du cancer. Rémission et réponse sont utilisés indifféremment.

- *Rémission complète (RC)* – Absence de la protéine du myélome dans le sérum et/ou les urines lors de l'examen standard. Absence de cellules myélomateuses dans la moelle osseuse et/ou dans d'autres zones impliquées par le myélome. Rémission clinique et évolution d'autres paramètres de laboratoire vers la normale. La rémission n'est pas une guérison.
- *Rémission partielle (RP)* – Niveau de réponse moins favorable que la rémission complète : dans les études SWOG, 50% et 75% de réponse, et dans d'autres études >50% de réponse.

Remodelage osseux : Action coordonnée (couplage) entre les ostéoclastes (qui résorbent ou détruisent l'os) et les ostéoblastes (qui fabriquent la nouvelle matrice de l'os) pour maintenir un équilibre entre la production osseuse et la destruction osseuse.

Résistance médicamenteuse : Résultat de la capacité des cellules à résister aux effets d'un médicament spécifique.

Squelette appendiculaire : Os longs (bras et jambes) rattachés à la colonne vertébrale, à la cage thoracique ou au bassin.

Squelette axial : Os du crâne, de la colonne vertébrale et du bassin.

Stade : Étendue du cancer dans l'organisme.

Stéroïde : Type d'hormone. Les stéroïdes sont souvent donnés aux patients en parallèle avec

un ou plusieurs médicaments anticancéreux et aident à contrôler les effets de la maladie sur l'organisme.

Survie sans progression : Période durant laquelle le patient survit et pendant laquelle le cancer ne progresse pas. Survie améliorée d'un patient, pouvant être attribuée directement au traitement donné pour le myélome. Ce terme identifie les patients atteints de myélome, qui sont en rémission complète par rapport à ceux qui connaissent des épisodes de rechute ou d'évolution de la maladie. **Système immunitaire** : Groupe complexe d'organes et de cellules produisant des anticorps pour défendre l'organisme contre les substances étrangères comme les bactéries, les virus, les toxines et les cancers.

Syndrome myélodysplasique : État dans lequel la moelle osseuse ne fonctionne pas normalement et ne produit pas suffisamment de cellules sanguines. Cet état peut s'aggraver et se transformer en leucémie aiguë.

Test HLA antigène leucocyte humain : Test sanguin utilisé pour rendre compatible un donneur de sang ou de moelle osseuse avec le receveur d'une transfusion ou d'une greffe.

Thérapie d'entretien : Médicaments donnés aux patients en rémission pour retarder ou prévenir la rechute.

Thérapie d'induction : Traitement initial utilisé pour parvenir à la rémission d'un patient dont le myélome vient d'être diagnostiqué.

Thérapie systémique : Traitement utilisant des substances transportées dans le sang, atteignant et affectant les cellules cancéreuses dans l'ensemble du corps.

Thrombocytes : Voir « Plaquettes ».

Thrombocytopenie : Taux réduit de plaquettes dans le sang. Le niveau normal est 150.000–250.000. Si le nombre de plaquettes est inférieur à 50.000, il peut se produire des problèmes de saignement. Des saignements abondants sont généralement associés à une baisse du nombre de plaquettes en dessous de 10.000.

TNF (Facteur de nécrose tumorale) : Type de modificateur de réponse biologique pouvant améliorer la réponse naturelle du corps à la maladie.

Toxines : Poisons produits par certains animaux, certaines plantes ou certaines bactéries.

Traitement palliatif : Destiné à améliorer la qualité de vie et à soulager la douleur et les symptômes de la maladie mais non censé en altérer le cours.

Traitement de soutien : Traitement donné pour empêcher, contrôler, ou soulager les complications et les effets secondaires et améliorer le confort et la qualité de vie des patients.

Transfusion : Transfert du sang ou de produits sanguins

Transplantation (ou greffe) : Les cellules souches sont utilisées pour venir en aide au potentiel de formation sanguine d'un patient suite à une chimiothérapie intensive et/ou un traitement par radiothérapie. La greffe n'est pas un traitement mais une méthode de soutien pour rendre possible un traitement intensif.

- *Greffe de moelle osseuse* – Ce terme désigne le processus de prélever des cellules souches dans la moelle osseuse et de les infuser dans le corps d'un patient. On utilise moins ce terme aujourd'hui en ce qui concerne le myélome, puisque les cellules souches sont souvent prélevées dans le sang périphérique ou dans le sang circulant.
- *Greffe de cellules souches du sang périphérique* – Les médecins prélèvent des cellules souches saines dans le système circulatoire du patient (et non dans la moelle osseuse) et les stockent avant que le patient reçoive une chimiothérapie intensive pour détruire les cellules cancéreuses. Les cellules souches sont ensuite réinjectées dans le corps du patient où elles peuvent produire de nouvelles cellules sanguines pour remplacer les cellules détruites par le traitement.
- *Allogénique* – Infusion de moelle osseuse ou de cellule souches d'un individu (donneur) à un autre (receveur). Un patient reçoit la moelle osseuse ou les cellules souches d'un donneur, même si celui-ci n'est pas génétiquement identique.
- *Autologue* – Procédure dans laquelle les cellules souches sont prélevées dans le sang d'un patient puis sont à nouveau infusées dans le corps du patient suite à un traitement intensif.
- *Greffes de donneur non apparenté (MUD)* – Fait référence aux procédures de greffe de cellules souches dans lesquelles les cellules souches sont génétiquement apparentées au patient mais ne proviennent pas d'un membre de la famille du patient. Il n'est pas recommandé de suivre cette procédure pour les patients atteints de myélome car elle comporte un taux de mortalité élevé inacceptable.
- *Syngénique* – Infusion de moelle osseuse ou de cellules souches d'un jumeau génétiquement identique à l'autre.

Tumeur : Masse anormale de tissu résultant d'une division excessive des cellules. Les tumeurs n'ont aucune fonction utile dans le corps. Elles peuvent être bénignes ou malignes.

Vaccin : Préparation composée de microorganismes tués, d'organismes vivants atténués, ou d'organismes vivants virulents, administrée pour produire ou accroître artificiellement l'immunité à une maladie particulière.

Virus : Petite particule vivante pouvant infecter les cellules et modifier leur fonctionnement. L'infection par un virus peut provoquer l'apparition de symptômes. La maladie et les symptômes provoqués dépendent du type de virus et du type de cellules infectées.

Zona : voir « Herpès zoster »