



Qualité de vie liée à la santé des enfants atteints de maladie de von Willebrand : résultats de l'étude de vie réelle « Health-related Quality of Life study »

Health-related quality of life in children with von Willebrand disease: results of the French real-life Willebrand Study Health-related Quality of Life study

Goudemand J, Susen S, Berger C, Bayart S, Chambost H, Genre-Volot F, *et al.*
J Thromb Haemost 2025 ; 23 : 2736-50.

Analyse commentée réalisée par Emna HAMMAMI

Date de publication : 3 septembre 2026

JUSTIFICATIFS ET OBJECTIFS

La maladie de Willebrand (MW), maladie hémorragique la plus fréquente (0,1 à 1 % de la population générale) affecte la qualité de vie des patients du fait de la symptomatologie hémorragique. L'impact physique et psychologique de la MW a été largement évalué chez les adultes, surtout chez les femmes. La première étude portant sur la qualité de vie liée à la santé des enfants atteints de MW (QVLS-MW) est néerlandaise (1).

WiSH-QoL est la première étude évaluant la QVLS-MW portant sur la population pédiatrique française. L'objectif principal était d'évaluer la QVLS-MW *via* un questionnaire générique et un questionnaire spécifique à la MW. L'objectif secondaire était d'évaluer l'impact du type de MW et de la stratégie thérapeutique sur la QVLS-MW des patients pédiatriques.

METHODES

WiSH-QoL est une étude observationnelle prospective conduite en France incluant tous les patients avec MW recrutés en consultation et suivis pendant 24 mois. La MW de type 1 était limitée à un taux de VWF:Ag < 30 % et les formes sévères de MW étaient définies par une VWF:RCo ≤ 15 UI/dL.

L'évaluation de la QVLS-MW était réalisée via le questionnaire générique DISABKIDS, évaluant la QVLS chez les enfants atteints de pathologies chroniques, et le questionnaire spécifique VWD-QoL.

La satisfaction du traitement et le fardeau familial étaient évalués uniquement par les parents en utilisant respectivement le questionnaire VWD-SAT et le questionnaire FaBel.

RESULTATS

Groupe d'âge	Questionnaire	Domaines les moins affectés	Domaines les plus affectés	Différences en fonction du type de MW (formes sévères) et du genre	Comparaison entre les scores parents versus enfants
8-17 ans (enfants et adolescents)	DISABKIDS (enfants) n = 56	Ressenti émotionnel et exclusion sociale	Autonomie et impact du traitement	Santé physique plus impactée	Scores composites légèrement plus élevés chez les enfants
	DISABKIDS (parents) n = 54	Ressenti émotionnel et exclusion sociale	Autonomie et limitations	Relations familiales plus impactées	
	VWD-QoL (enfants) n = 45	Scolarité, santé physique et perception de la maladie	Relations amicales, sport, gestion de la maladie	Impact plus marqué sur la santé mentale et la scolarité dans les formes sévères. Scolarité davantage affectée chez les garçons	Scores rapportés par les enfants plus favorables notamment pour la santé physique et le ressenti émotionnel
	VWD-QoL (parents) n = 41	Visites à l'hôpital	Relations amicales	Relations familiales, santé physique et ressenti plus altérés dans les formes sévères, mais paradoxalement moins de plaintes rapportées	
Enfants de 4 à 7 ans	DISABKIDS (enfants) n = 16	Santé mentale et relations sociales	Santé physique : aller chez le médecin	Pas de différence	Scores alignés (IC = 0,684) et scores composites similaires (79 et 78)
	DISABKIDS (parents) n = 17	Pas d'impact	Santé physique : aller chez le médecin	Score plus bas pour les types 2	
	VWD-QoL (enfants) n = 13	Autres et scolarité	Relations amicales, familiales et santé physique	Pas de différence en fonction du type Filles plus impactées en ce qui concerne les relations et le sport	Scores alignés (IC = 0,852) et score total identique (24) Le domaine santé physique était mieux noté par les parents
	VWD-QoL (parents)		Relations amicales et familiales, hôpital	Pas de différence en fonction du type Filles plus impactées en termes de perception de soi	

Concernant les enfants âgés de moins de 4 ans, les 7 parents ayant rempli le questionnaire spécifique à la MW rapportent un mauvais score chez un enfant atteint de MW de type 3 et une dimension familiale impactée chez un enfant atteint de MW de type 2B.

Les 36 parents ayant rempli le questionnaire VWD-SAT étaient satisfaits des centres hospitaliers et du médecin tandis que les niveaux de satisfaction les plus bas concernaient le fardeau du traitement et ses contraintes.

Concernant le fardeau familial, les réponses au questionnaire FaBel montraient que l'adaptation était le domaine le plus affecté suivi de l'impact parental et la charge financière ainsi que les relations sociales. Les relations avec la fratrie étaient moins impactées. Les parents rapportaient un fardeau familial important surtout dans les formes sévères.

AVIS D'EXPERT

Cette première étude française, et la deuxième publiée dans la littérature portant sur la QVLS des enfants atteints de MW, représente une contribution importante à la compréhension de l'impact de cette pathologie sur la population pédiatrique. Les résultats confirment certains éléments attendus, tout en apportant de nouveaux éléments concernant plusieurs dimensions de la qualité de vie des patients et de leur entourage.

En effet, les enfants atteints de formes sévères de maladie de Willebrand semblent avoir une QVLS plus impactée notamment en termes de : santé physique et mentale, relations familiales et scolarité.

Cette étude met en évidence des différences dans le vécu de la maladie selon le genre, notion peu explorée dans les populations pédiatriques. Les garçons plus âgés semblent davantage affectés dans leur scolarité, tandis que les jeunes filles rapportent un impact plus marqué sur le sport et les relations. Cette observation est particulièrement intéressante car elle touche les filles non encore pubères et donc non impactées par des ménorragies.

Comme discuté par les auteurs, chez les adolescents, la maladie semble affecter particulièrement l'autonomie, les relations sociales et certaines dimensions de la santé mentale. Leur santé physique est également impactée, notamment en termes de sport, rejoignant les données de la littérature concernant les adolescents hémophiles (2). Cette notion n'a pas été révélée par l'étude néerlandaise qui n'a inclus que des données issues d'un questionnaire générique (1).

De manière plus inattendue, le domaine « plaintes » semble moins impacté chez les patients atteints de formes sévères. Ceci pourrait s'expliquer par une prise en charge thérapeutique plus efficace, bien qu'un nombre limité de patients atteints de formes sévères aient une prophylaxie au long cours.

En comparant les données pédiatriques du questionnaire VWD-QoL aux données adultes de l'étude WiSH-QoL (3), on retrouve cette notion de limitations liées aux traitements plus marquées chez les patients atteints de MW de type 1.

Le fait que les parents signalent un impact social et mental plus important que celui signalé par les enfants, témoignant ainsi d'un vécu différent de la maladie, semble également intéressant.

Cette étude, portant sur un échantillon limité mais représentatif d'enfants atteints de MW, révèle un impact multidimensionnel de la maladie, touchant non seulement la santé physique mais également les dimensions : mentale, sociale et familiale. Ces données confirment l'importance d'une prise en charge globale des enfants atteints de MW intégrant le soutien psychosocial des patients et de leurs familles. L'évaluation de l'impact d'un programme d'éducation thérapeutique sur ces dimensions serait intéressante.

RÉFÉRENCES

1. de Wee EM, Fijnvandraat K, de Goede-Bolder A, Mauser-Bunschoten EP, Eikenboom JCJ, Brons PP, *et al.* Impact of von Willebrand disease on health-related quality of life in a pediatric population: Quality of life in children with von Willebrand disease. *J Thromb Haemost* 2011 ; 9 : 502-9.
2. von Mackensen S, Shah J, Seifert W, Kenet G. Health-related quality of life in paediatric haemophilia B patients treated with rIX-FP. *Haemophilia* 2019 ; 25 : 45-53.
3. Borel-Derlon A, Veyradier A, Repessé Y, Itzhar-Baïkan N, Desprez D, Genre-Volot F, *et al.* Health-related quality of life in adults with von Willebrand disease: results of the French real-life Willebrand study on health-related quality of life. *Res Pract Thromb Haemost* 2026 ; 10 : 103324.