

# Macroglobulinémie de Waldenström

---

Glossaire : Mots utiles à  
connaître lorsque vous avez la  
MW



# Macroglobulinémie de Waldenström

---

## Glossaire : Mots utiles à connaître quand vous avez la MW

**Glenn Cantor, DVM, PhD**

**Sue Herms**

**Linda Nelson, MScD, DMD**

L'IWMMF remercie Guy Sherwood, MD, CCFP, ABHM, Pete DeNardis, and Bret Blakesleefor pour leur contribution aux précédentes éditions de cette publication.

**Avis de non-responsabilité médicale :** les informations présentées ici sont uniquement destinées à des fins éducatives. Elles ne sont pas destinées à se substituer à un avis médical. Les patients doivent utiliser les informations fournies en pleine concertation et surveillance d'un médecin expérimenté dans le traitement de la MW. Nous décourageons l'utilisation par un patient de toute information contenue dans ce document sans en discuter avec son médecin spécialiste.

## Glossaire : Mots utiles à connaître quand vous avez la

### MW

Ce glossaire est conçu pour vous aider à apprendre et à comprendre les termes médicaux pertinents qui se rapportent à la MW. La plupart de ces termes ne vous seront probablement pas familiers, en particulier si vous avez été diagnostiqué récemment. Si vous souhaitez développer votre vocabulaire médical pour mieux comprendre votre maladie, améliorer la communication avec les professionnels de santé et mieux comprendre les conférences, les webinaires et les publications médicales, ce glossaire sera un outil utile.

**Acalabrutinib (Calquence)** : Un médicament oral qui cible et inhibe la [tyrosine kinase de Bruton](#) (BTK), une enzyme qui est importante dans le développement et l'activation des cellules B et qui est surexprimée dans la MW. Il appartient à la même classe de médicaments que l'ibrutinib (Imbruvica), mais il s'agit d'un médicament de deuxième génération qui est plus sélectif pour BTK et aurait moins d'effets secondaires. L'acalabrutinib a été approuvé par la FDA pour le [lymphome](#) du manteau, la leucémie lymphoïde chronique, le petit lymphome lymphocytaire (SLL en anglais) et a été étudié dans des essais cliniques sur la MW.

**Acide aminé** : Le bloc de construction chimique de base des protéines. Les protéines sont composées de chaînes d'acides aminés. Des changements dans l'ADN (voir [Mutation](#)) peuvent parfois amener une protéine à contenir des acides aminés différents de ceux qui la composent initialement. Dans certains cas, un changement d'acides aminés peut rendre une protéine trop active et entraîner la croissance et la prolifération des cellules cancéreuses (voir [MYD88 L265P](#)). Les acides aminés sont souvent abrégés par une seule lettre (comme L pour Leucine ou P pour Proline).

**Acide désoxyribonucléique (ADN)** : Une molécule composée de deux chaînes qui s'enroulent l'une autour de l'autre pour former une double hélice portant des instructions génétiques pour le développement, le fonctionnement, la croissance et la reproduction de tous les organismes connus et de nombreux virus.

**Acide ribonucléique (ARN)** : Une molécule essentielle dans le codage, le décodage, la régulation et l'expression des gènes (traduction de l'ADN en protéines). Contrairement à l'ADN, l'ARN se trouve à l'état naturel sous la forme d'un simple brin replié sur lui-même, plutôt que sous la forme d'un double brin apparié. De nombreux virus codent leurs informations génétiques en utilisant de l'ARN plutôt que de l'ADN.

**Agent alkylant** : Agent de chimiothérapie, tel que le chlorambucil (Leukeran), le cyclophosphamide (Cytosan) ou la bendamustine (Treanda ou Bendeka), qui bloque la division cellulaire en se fixant à l'ADN et en l'altérant. Les agents alkylants sont utilisés pour traiter certains cancers, dont la MW.

**Albumine** : La protéine principale présente dans le plasma sanguin. Elle est produite dans le foie et joue un rôle important dans la régulation du volume sanguin et dans le transport de molécules telles que les hormones, les acides gras, le calcium et certains médicaments.

**Amyloïdose aussi appelée Amylose** : Un groupe de conditions caractérisé par l'accumulation de fibres de protéines fines insolubles (amyloïde) dans divers organes et tissus du corps, de sorte que leur fonction est compromise. L'accumulation de protéines peut être locale ou systémique. L'amylose dans la MW est généralement causée par des fragments de chaînes légères de la molécule d'IgM monoclonale et affecte principalement les reins et le cœur.

**Analogue nucléosidique (en anglais Nucleoside analog - NA) :** Une partie d'une plus grande classe de médicaments anticancéreux appelés antimétabolites, aussi appelés analogues de purine, qui agissent spécifiquement sur les cellules proliférantes en bloquant la division cellulaire. La fludarabine (Fludara) est un analogue nucléosidique utilisé pour traiter la MW.

**Anémie :** Un état dans lequel le nombre de globules rouges ou la quantité d'hémoglobine dans les globules rouges est anormalement bas. Les signes et symptômes comprennent la fatigue, une sensation de froid, des étourdissements, une peau pâle, un faible niveau d'énergie, un essoufflement. Il existe de nombreuses causes d'anémie, parmi lesquelles la perte de sang, les maladies héréditaires, la carence en fer, la carence en vitamines, les problèmes de moelle osseuse, certaines maladies chroniques, les toxines, l'hémolyse des globules rouges et l'hypertrophie de la rate. L'anémie est l'indication de traitement la plus courante chez les patients MW.

**Anoïkose (forme spécifique d'apoptose) :** Mort des cellules tumorales lorsqu'elles sont délogées de leur environnement préféré dans la moelle osseuse vers la circulation sanguine. Les médicaments MW dirigés contre CXCR4 tels que le mavorixafor ou l'ulocuplumab peuvent agir par ce mécanisme.

**Anticorps :** Également appelé immunoglobuline, cette protéine en forme de Y est produite par les lymphocytes B et les plasmocytes en réponse à une substance étrangère (antigène). Les antigènes les plus nocifs pour le corps sont les bactéries, les virus et les parasites. Chaque anticorps se lie uniquement à un antigène spécifique, et son but est d'aider à neutraliser l'antigène ou à enrôler d'autres cellules immunitaires ou des protéines complémentaires pour attaquer l'antigène. Les anticorps sont divisés en cinq classes (IgA, IgD, IgE, IgG et IgM) en fonction de leur structure et de leur activité. Pour une description de chaque classe, voir [Immunoglobuline](#).

**Antigène (substance étrangère) :** Toute molécule qui réagit avec des anticorps et des récepteurs spécifiques sur les cellules T et B, qui sont des cellules du système immunitaire, provoquant une réponse immunitaire.

**Apoptose :** Un processus normal de mort cellulaire programmée. Une apoptose défectueuse aide les cellules cancéreuses à échapper à la mort et a été impliquée dans de nombreux types de cancer.

**Asymptomatique :** Sans symptôme.

**Auto-anticorps :** Un anticorps dirigé contre un auto-antigène, par exemple contre un composant tissulaire normal.

**Auto-immune :** Relatif à une maladie causée par des auto-anticorps. Les exemples incluent la polyarthrite rhumatoïde, le lupus, la sclérose en plaques et le psoriasis.

**Basophile :** Un globule blanc impliqué dans le déclenchement de réactions allergiques.

**BCL-2 (lymphome 2 à cellules B) :** Une protéine d'une famille de protéines qui régule l'apoptose (mort cellulaire programmée). BCL-2 est une protéine anti-apoptotique, qui permet aux cellules d'éviter les signaux de régulation qu'elles font mourir. La surexpression de BCL-2 dans plusieurs cancers permet aux cellules cancéreuses de survivre. Les médicaments qui inhibent BCL-2 provoquent la mort des cellules cancéreuses surexprimées. BCL-2 est la cible du vénétoclax (Venclexta ou Venclyxto) médicament anticancéreux, qui est approuvé par la FDA pour la leucémie lymphoïde chronique et est à l'étude chez les patients MW.

**BDR** : Abréviation d'une combinaison de traitement composée de bortézomib (Velcade), de dexaméthasone (Decadron) et de rituximab (Rituxan). Il est utilisé pour le myélome multiple et certains types de lymphomes, dont la MW.

**Bendamustine (Treanda ou Bendeka)** : Un médicament utilisé pour traiter les lymphomes non hodgkiniens (LNH) à cellules B à croissance lente tels que la MW. La Bendamustine se fixe et altère l'ADN des cellules cancéreuses, bloquant ainsi la division cellulaire. C'est principalement un type d'agent alkylant. Treanda et Bendeka sont des formulations légèrement différentes de la bendamustine.

**Bêta-2 microglobuline ( $\beta$ 2M)** : Une protéine présente dans toutes les cellules avec un noyau ; les niveaux de  $\beta$ 2M sont élevés dans le myélome multiple et la MW.

**Biopsie ostéo-médullaire (BOM)** : Le prélèvement de tissu solide de la moelle osseuse pour rechercher des anomalies de la moelle osseuse. L'échantillon est généralement prélevé à l'arrière de l'os de la hanche. En règle générale, une ponction et une biopsie sont effectuées ensemble.

**Bortezomib (Velcade)** : Un médicament utilisé pour le traitement du myélome multiple et de certains types de lymphome, y compris la MW. Il appartient à la classe de médicaments appelés inhibiteurs du protéasome. Il peut être administré par voie intraveineuse ou sous-cutanée.

**CaRD** : Abréviation d'une combinaison de traitement composée de carfilzomib (Kyprolis), de rituximab (Rituxan) et de dexaméthasone (Decadron). Elle est utilisée pour le myélome multiple et la MW.

**Carfilzomib (Kyprolis)** : Un nouveau membre de la famille des médicaments appelés inhibiteurs du protéasome qui sont utilisés pour le traitement du myélome multiple et de certains lymphomes, y compris la MW.

**Cellule-B ou lymphocyte-B (également écrit sans trait d'union, cellule B ou lymphocyte B)** : Un globule blanc qui est formé dans la moelle osseuse et est le précurseur du plasmocyte. La cellule B porte des anticorps (immunoglobulines) à sa surface.

**Cellule B mémoire (en anglais Memory B cell)** : Cellule B à longue durée de vie qui a déjà été activée pour répondre à un antigène mais qui n'a pas subi de différenciation en cellule plasmocytaire. Elle réagit plus rapidement qu'une cellule B "naïve" lorsqu'elle est stimulée à nouveau avec le même antigène (ex : en cas d'attaque par un précédent agent pathogène).

**Cellule plasmocytaire (aussi appelée Plasmocyte)** : globule blanc entièrement mature de la lignée des cellules B qui produit des anticorps. Dans le myélome multiple, la cellule plasmocytaire devient maligne et produit dans la plupart des cas de grandes quantités d'anticorps IgG. Bien que rarement, la cellule plasmocytaire maligne produit des IgM ou des IgA au lieu des IgG.

**Cellule souche hématopoïétique (CSH)** : Résidant dans la moelle osseuse, c'est l'ancêtre commun de toutes les cellules fonctionnelles présentes dans le sang. Les cellules souches représentent moins de 0,01% des cellules de la moelle osseuse chez l'adulte et donnent naissance à une population de cellules précurseurs. Ces cellules précurseurs à leur tour se divisent et se différencient davantage à travers plusieurs étapes en cellules matures responsables de tâches spécifiques. Les cellules souches sont également capables de se recréer par auto-renouvellement.

**Cellule-T ou lymphocyte-T (également écrit sans trait d'union cellule T / lymphocyte T) :** Ces cellules représentent une vaste catégorie de lymphocytes et comportent différentes sous-catégories. Les cellules T naïves (inactivées) sont au repos et une fois activées peuvent sécréter des facteurs de croissance et des modulateurs immunitaires (cytokines, interleukines). Les cellules T mémoire peuvent être réactivées rapidement lorsque qu'elles sont remises en présence de l'agent pathogène à l'origine de leur activation. Les cellules T qui expriment CD8<sup>1</sup> (appelées cellules T CD8) sont toxiques pour les cellules et tuent souvent directement les cellules infectées par un virus ou les cellules cancéreuses (cellules T [cytotoxiques](#)), tandis que les cellules T qui expriment CD4 (appelées cellules T CD4) sécrètent souvent des substances chimiques appelées cytokines qui augmentent l'inflammation globale, contribuant indirectement à la destruction des tumeurs. Les cellules T régulatrices (Tr ou Tregs) agissent de manière opposée et régulent à la baisse les réponses immunitaires. Certaines thérapies d'immuno-oncologie visent à augmenter l'activité des cellules T CD8, tandis que d'autres thérapies visent à inhiber les Treg.

**Cellule tueuse naturelle (en anglais Natural killer (NK) cell) :** Un globule blanc spécialisé du système immunitaire qui peut reconnaître les cellules cancéreuses ou les cellules infectées par des virus ou d'autres agents pathogènes. Il est constitutivement [cytotoxique](#) et peut provoquer leur destruction par différents processus chimiques.

**Centipoise (cp) :** Une unité de viscosité, utilisée pour mesurer si le sérum est excessivement épais ou collant. L'eau a une viscosité de 1,0 centipoise (cP). La viscosité normale du sérum est de 1,4 à 1,8 cP. Chez les patients MW, un taux d'IgM excessif peut entraîner une viscosité élevée du sérum. Une viscosité sérique élevée chez les patients MW, comme plus de 4 cp, peut provoquer de nombreux troubles, y compris des lésions de la rétine (l'arrière de l'œil).

**Chaîne légère :** Petite sous-unité polypeptidique (sous-unité d'une protéine constituée de l'accumulation de plusieurs acides aminés) d'une molécule d'immunoglobuline. Il existe deux types de chaînes légères : kappa ( $\kappa$ ) et lambda ( $\lambda$ ). Les deux types de chaînes légères sont présents chez tous les individus, et l'un ou l'autre des types de chaînes légères peut se combiner avec l'un quelconque des types de chaînes lourdes.

**Chaîne légère Kappa :** L'un des deux types de chaînes légères présentes chez tous les individus.

**Chaîne légère Lambda :** Un des deux types de chaînes légères présentes chez tous les individus.

**Chaîne légère libre (CCL) :** La chaîne légère (kappa ou lambda) de la molécule d'immunoglobuline (anticorps) qui circule dans le sérum ou l'urine à l'état libre (non lié). La mesure du taux sérique de CCL est utilisée comme aide au diagnostic et à la surveillance du myélome multiple et des troubles associés. L'utilité de ce test dans la MW n'est pas bien définie.

**Chaîne lourde :** La grande sous-unité polypeptidique d'une molécule d'[immunoglobuline](#). Il existe cinq types de chaînes lourdes chez les mammifères :  $\gamma$ ,  $\delta$ ,  $\alpha$ ,  $\mu$  et  $\epsilon$  qui définissent les classes d'immunoglobulines comme IgG, IgD, IgA, IgM et IgE, respectivement.

**Chambre implantable (Port en anglais) :** Petit boîtier médical implanté sous la peau. Un tuyau le relie à une veine. Il possède une cloison qui permet d'injecter les produits. La chambre implantable est utilisée chez les personnes qui ont besoin d'injections répétées, au lieu de piquer les veines de façon répétitive, offrant ainsi un meilleur confort pour le patient. La chambre peut également être utilisée pour prélever des échantillons de sang.

<sup>1</sup> Lorsqu'une cellule exprime un gène (ex : CD8) cela signifie que la cellule produit la protéine correspondante appelée elle-même CD8. Dans le cas de CD8 cette protéine migre ensuite à la surface de la membrane cellulaire.

**Chimio-immunothérapie :** L'utilisation de la chimiothérapie associée à l'immunothérapie. La chimiothérapie utilise des médicaments pour tuer ou ralentir la croissance des cellules cancéreuses. L'immunothérapie utilise des traitements tels que les anticorps monoclonaux pour reconnaître, stimuler ou aider la capacité de son propre système immunitaire à combattre le cancer.

**Chimiothérapie :** Souvent appelée chimio, il s'agit d'un traitement avec un ou plusieurs groupes spécifiques de médicaments anticancéreux qui sont cytotoxiques (toxiques pour les cellules) et endommagent ou tuent les cellules qui se divisent rapidement, qui est l'une des principales propriétés de la plupart des cellules cancéreuses. Ils peuvent également nuire aux cellules normales qui se divisent rapidement, y compris les cellules de la moelle osseuse, du tube digestif et des follicules pileux. Ils sont fréquemment administrés en association avec d'autres médicaments.

**Chlorambucil (Leukeran) :** Un médicament utilisé pour traiter plusieurs types de leucémie et de lymphome, y compris la MW. Il bloque la croissance cellulaire en se fixant et en modifiant l'ADN de la cellule. Ce médicament est une chimiothérapie anticancéreuse de la famille des alkylants.

**CHOP :** Abréviation d'une combinaison de chimiothérapie utilisée pour traiter le lymphome. Il comprend les médicaments Cytoxan, hydroxydoxorubicine (également connue sous le nom de doxorubicine ou adriamycine), Oncovin (également connue sous le nom de vincristine) et de prednisone ou prednisolone.

**Chromosome :** Une structure en forme de bâtonnet étroitement enroulée à l'intérieur du noyau de la cellule qui contient l'ADN. Les humains ont généralement 46 chromosomes dans la plupart de leurs cellules, disposés en 23 paires.

**Clone :** Une cellule ou plusieurs d'un groupe de cellules génétiquement identiques toutes reproduites à partir d'une seule cellule parente.

**CLR 131 (Iopofosine) :** Un médicament actuellement en essais cliniques pour la MW, ainsi que pour d'autres tumeurs malignes telles que le myélome multiple. Le médicament, un isotope radioactif de l'iode, est ciblé sur les cellules tumorales par un éther phospholipidique. Voir [Conjugué anticorps-médicament](#).

**Cluster de différenciation ou classe de différenciation (CD) :** Un système utilisé pour l'identification et l'étude des molécules de surface présentes sur presque tous les types de cellules du corps, fournissant un moyen d'aider à identifier le type de cellule. Les molécules de surface peuvent également être utilisées comme cible pour une thérapie par des anticorps monoclonaux. Quelques-uns d'intérêt dans la MW sont décrits ci-dessous :

**CD19 :** Cluster de différenciation des lymphocytes B ; l'antigène CD19 est présent sur les cellules B dès le début de leur développement mais est perdu lors de la maturation des plasmocytes. Certains traitements de la leucémie et du lymphome ciblent le CD19.

**CD20 :** Cluster de différenciation des lymphocytes B ; l'antigène CD20 est présent à la surface des cellules B dès le début de leur développement mais est perdu lors de la maturation des plasmocytes. Le CD20 est la cible des anticorps monoclonaux rituximab (Rituxan), ofatumumab (Arzerra) et obinutuzumab (Gazyva), qui sont tous des agents actifs dans le traitement des lymphomes à cellules B tels que la MW.

**CD34 :** Cluster de différenciation des cellules progénitrices hématopoïétiques ; l'antigène CD34 est présent sur les cellules souches de la moelle osseuse. C'est un marqueur utile pour déterminer le succès de la collecte de cellules souches en préparation d'une greffe de moelle osseuse.

**CD38** : Cluster de différenciation CD38 exprimé sur les plasmocytes. Certains traitements par anticorps monoclonaux pour le myélome multiple ciblent le CD38 et sont actuellement testés dans des essais cliniques pour la MW.

**Comité d'examen institutionnel (acronyme anglais IRB pour Institutional Review Board)** : Chaque hôpital où un essai clinique est mené doit avoir un comité d'examen institutionnel. L'IRB est un groupe de surveillance qui évalue le protocole de l'étude pour s'assurer que les droits et le bien-être des sujets de recherche humains sont protégés et que l'étude est éthique et scientifiquement valide. Toutes les études cliniques doivent être approuvées par l'IRB avant de pouvoir commencer.

**Comorbidité** : Avoir deux maladies ou plus en même temps, généralement des maladies chroniques telles que le diabète ou des maladies cardiovasculaires.

**Complément** : Un système de petites protéines, synthétisées principalement dans le foie et circulant dans le sang qui, lorsqu'elles sont stimulées, sont impliquées dans le processus inflammatoire et aident à neutraliser les agents pathogènes. Le complément fait partie du système immunitaire inné.

**Complexe antigène-anticorps (en anglais, Antigen-antibody complex)** : Un composé formé par l'attachement d'un anticorps à un antigène. La plupart de ces complexes sont inoffensifs, mais certains peuvent provoquer des lésions tissulaires par activation du système immunitaire ou en incitant une réaction inflammatoire.

**Conjugué anticorps-médicament (en anglais, Antibody-drug conjugate)** : Un médicament anticancéreux dans lequel le médicament lui-même est attaché à un anticorps dirigé contre une molécule à la surface des cellules cancéreuses. Une fois que l'anticorps s'est lié à la cellule cancéreuse, le médicament est libéré, soit à l'intérieur ou à proximité immédiate de la cellule cancéreuse. Cette approche permet l'administration localisée de médicaments qui seraient toxiques s'ils étaient distribués dans tout le corps. Un médicament le CLR 131 (loporfosine) actuellement utilisé dans les premiers essais pour les patients MW, ressemble à ce type de conjugués anticorps-médicament, bien qu'il utilise un éther phospholipidique pour cibler les cellules MW au lieu d'un anticorps. Le médicament actif du CLR 131 est un isotope radioactif de l'iode, appelé iode-131.

**Consentement éclairé** : Un document qui doit être signé par un patient ou son représentant avant de participer à un essai clinique. Le document de consentement éclairé explique les risques et effets secondaires possibles et garantit que le patient participe volontairement et en toute connaissance de cause à un essai clinique.

**Copanlisib (Aliqopa)** : Un médicament intraveineux qui cible et inhibe la phosphoinositide 3-kinase (PI3K). Il a été approuvé pour le traitement du lymphome folliculaire et a été utilisé dans des essais cliniques sur la MW.

**COVID-19** : Un nouveau virus, également appelé coronavirus ou SRAS-CoV-2, qui était responsable d'une épidémie mondiale, appelée pandémie. Il s'agit principalement d'un virus respiratoire, provoquant généralement des symptômes de toux, de fièvre élevée, d'essoufflement, de fatigue et de perte de goût et d'odorat. Cependant, il affecte également d'autres systèmes corporels, y compris les cellules endothéliales (la paroi interne des vaisseaux sanguins), le cerveau, les reins, le cœur, le pancréas et d'autres organes. Bien que la majorité des cas entraînent des symptômes bénins, certains évoluent vers un syndrome de détresse respiratoire aiguë, une défaillance multi-organes, un choc septique, des caillots sanguins et un accident vasculaire cérébral.

**CRISPR-Cas9** : Surnommés ciseaux génétiques, technologie qui permet aux généticiens et aux chercheurs médicaux de modifier des parties du génome en supprimant, en ajoutant ou en modifiant des sections de la séquence d'ADN.

**Cryoglobulinémie (Cryo) :** Une affection causée par des protéines d'anticorps anormales qui précipitent à des températures plus froides que la température corporelle normale. Lorsque cela se produit aux températures plus froides atteintes dans les capillaires de la peau et du tissu sous-cutané, les anticorps précipités peuvent bloquer les petits vaisseaux sanguins et / ou se déposer dans les reins et autres tissus, provoquant des dommages.

**CT ou CAT scan (tomographie axiale informatisée) :** Une procédure d'imagerie qui utilise des faisceaux de rayons X étroits pour examiner une section du corps sous différents angles et produire une image précise de la zone. Elle peut être réalisée avec ou sans produit de contraste (colorant radiographique).

**CVP :** Une abréviation d'une combinaison de chimiothérapie utilisée pour traiter certains types de lymphome. Il comprend les médicaments cyclophosphamide (Cytoxan), vincristine (Oncovin) et prednisone ou prednisolone.

**CXCR4 (récepteur de chimiokine C-X-C de type 4) :** Un messenger chimique (protéine) qui joue un rôle important dans la domiciliation des cellules souches au sein de la moelle osseuse. Des mutations dans CXCR4 ont été récemment identifiées chez environ 35 à 40% des patients atteints de MW et peuvent avoir un impact sur la présentation clinique et la réponse à certains traitements, tels que l'ibrutinib (Imbruvica). Des inhibiteurs de CXCR4, tels que l'ulocuplumab et le mavorixafor, sont actuellement en cours de développement et sont testés chez des patients MW.

**Cyclophosphamide (Cytoxan) :** Un médicament utilisé pour traiter de nombreux types de cancers. Il altère l'ADN des cellules et bloque la division cellulaire. C'est un type d'agent alkylant.

**Cytokine :** La grande catégorie de petites protéines qui sont importantes dans la signalisation cellulaire. Ils sont libérés par les cellules et affectent le comportement des autres cellules.

**Cytométrie en flux :** Un processus dans lequel un instrument utilise un faisceau laser pour diffuser la lumière des cellules lorsqu'elles traversent un liquide dans la chambre de l'instrument. La lumière du faisceau laser rebondit sur chaque cellule, est captée par des détecteurs et fournit des informations sur les caractéristiques de la cellule, telles que la taille et la structure interne. La cytométrie en flux peut également utiliser des anticorps marqués avec des colorants fluorescents qui se lient à des antigènes spécifiques sur les surfaces cellulaires, tels que les antigènes CD, pour aider à identifier le type de cellules présentes.

**Cytopénie :** Un nombre anormalement bas de cellules sanguines. Voir [Anémie](#), [leucopénie](#), [neutropénie](#) et [thrombocytopénie](#).

**Cytotoxique :** Toxique pour les cellules.

**Daratumumab (Darzalex) :** Un médicament qui cible l'antigène CD38 trouvé à la surface des plasmocytes. Il s'agit d'un type de traitement par anticorps monoclonaux approuvé pour le myélome multiple et est actuellement testé dans des essais cliniques pour la MW. Il peut être administré par voie intraveineuse ou sous-cutanée.

**Dexaméthasone (Decadron) :** Un corticostéroïde synthétique similaire aux hormones stéroïdes produites naturellement dans la glande surrénale. Il neutralise le système immunitaire et réduit l'inflammation. Il peut être utilisé pour traiter une variété d'affections, y compris les maladies auto-immunes et certains cancers.

**Duvelisib (Copiktra) :** Un médicament oral qui cible et inhibe la phosphoinositide 3-kinase (PI3K). Il a été approuvé pour le traitement de la leucémie lymphoïde chronique et du lymphome folliculaire.

**Effets indésirables :** Tout effet secondaire indésirable associé à l'utilisation d'un médicament chez l'homme. Par exemple, un événement indésirable pourrait être le développement d'une éruption cutanée chez un patient prenant un médicament pour la MW. Les effets indésirables ne sont pas nécessairement causés par le médicament. Par exemple, un patient prenant un médicament peut développer une éruption cutanée pour d'autres raisons. Dans les essais cliniques, tous les effets indésirables sont enregistrés et rapportés. De cette manière, les effets indésirables peuvent être comparés entre des patients prenant différents médicaments. Les effets secondaires indésirables sont classés par grade. Les effets indésirables de grade 1 sont légers, de grade 2 modérés, de grade 3 sévères, de grade 4 menaçant le pronostic vital ou invalidants, et de grade 5 entraînent la mort.

**Efficacité :** efficace ; la capacité d'un traitement à produire le résultat souhaité.

**Electrophorèse des protéines sériques (EPS) :** Un test de laboratoire qui examine des protéines spécifiques dans le sang appelées globulines en soumettant le sérum prélevé à un courant électrique. Celui-ci sépare les composants des protéines sériques en cinq catégories (sérum-albumine, globulines alpha-1, globulines alpha-2, bêtaglobulines et gammaglobulines) selon leur taille et leur charge électrique. Dans la MW et les troubles associés, cette technique est utilisée pour identifier les protéines d'[immunoglobulines](#) monoclonales (telles que l'IgM, l'IgG et l'IgA), qui se trouvent généralement dans la zone des de gamma globulines.

**Éosinophile :** Un globule blanc impliqué dans des réactions contre les vers parasites et dans certaines réactions allergiques.

**Épanchement pleural :** L'accumulation de liquide dans l'espace pleural (l'espace entre les deux couches de la membrane pleurale qui entoure chaque poumon). Elle se définit par un essoufflement, des douleurs thoraciques, une gêne gastrique et une toux. Un large éventail de d'affections peut provoquer un épanchement pleural, y compris une insuffisance cardiaque congestive, une infection pulmonaire, une tumeur, un trouble du tissu conjonctif ou un caillot sanguin.

**Épigénétique :** L'étude des changements structurels qui régulent la façon dont les gènes sont exprimés. La plupart des cellules du corps partagent le même ADN (appelé génome). Cependant, différents types de cellules doivent utiliser leur ADN différemment, de sorte qu'une cellule devienne une cellule hépatique tandis qu'une autre devienne une cellule cutanée. Ceci est accompli en régulant la façon dont l'ADN est plié et compacté, ce qui fait que certains tronçons d'ADN sont "ouverts" ou exposés tandis que d'autres tronçons sont "fermés" et inaccessibles. Les changements épigénétiques régissent le développement et le destin appropriés des types de cellules dans tout le corps. Les anomalies épigénétiques sont courantes dans les cellules cancéreuses, entraînant une croissance inappropriée ou dérégulée.

**Épigénome :** L'ensemble complet de composés chimiques qui modifie ou marque le génome (ADN) d'une manière qui lui indique ce qu'il faut faire, où le faire et quand le faire. L'épigénome comprend non seulement les produits chimiques qui modifient le génome, mais aussi exactement où dans le génome ces modifications sont situées. Les cellules cancéreuses, y compris les cellules MW, peuvent avoir des épigénomes modifiés.

**Épistaxis :** saignement du nez.

**Érythrocytes (globules rouges / acronyme anglais RBC) :** Voir [Globules rouges](#)

**Essai clinique :** Un type d'étude de recherche qui teste l'efficacité des nouvelles approches médicales chez les personnes, y compris les nouvelles méthodes de dépistage, de prévention, de diagnostic ou de traitement d'une maladie. Les essais cliniques peuvent varier en taille et en coût et peuvent impliquer un seul centre de recherche ou plusieurs centres, dans un pays ou dans plusieurs pays. Les essais cliniques de nouveaux traitements ou dispositifs sont menés pour déterminer leur sécurité et leur efficacité. Ils sont réalisés en une série d'étapes appelées phases :

**Phase 1 :** Cette première étape d'un essai clinique doit évaluer la sécurité du traitement de l'étude. Seul un petit nombre de personnes, généralement 20 à 80, participent à ce stade. Les études de phase 1 visent à trouver une gamme posologique sûre, à décider comment le traitement doit être administré et à voir comment le traitement affecte le corps humain. Certaines informations peuvent être recueillies sur l'efficacité du traitement.

**Phase 2 :** Dès que la sécurité initiale du traitement est assurée en phase 1, des essais de phase 2 sont lancés. À ce stade, un groupe d'individus légèrement plus grand est inscrit pour recevoir le traitement de l'étude. Les essais de phase 2 cherchent à déterminer si le traitement a un effet sur certaines maladies et continuent de surveiller comment le traitement affecte l'individu.

**Phase 3 :** Contrairement aux étapes précédentes, les essais de phase 3 impliquent un très grand groupe de participants et sont menés dans plus d'un cadre clinique. Les essais multicentriques incluent plus de participants et un plus large éventail de groupes de participants provenant de différentes zones géographiques, ce qui améliore la capacité de comparer les résultats entre les centres. Cette phase évalue l'efficacité du traitement de l'étude en comparant le nouveau traitement (ou la nouvelle utilisation d'un traitement) avec la norme de traitement actuelle (voir [Tête à tête](#)). En règle générale, après un essai de phase 3 réussi, un traitement peut être examiné par la FDA pour être commercialisé auprès du public.

**Phase 4 :** Cette phase de "surveillance post-commercialisation" débute après la mise à disposition du traitement auprès du grand public. Ces essais peuvent être menés pour de nombreuses raisons, telles que de rechercher un nouveau marché pour le traitement, l'étude de ses interactions avec tout autre traitement et l'évaluation de la sécurité et de l'efficacité à long terme du traitement.

**Everolimus (RAD001 ou Afinitor) :** Un médicament qui inhibe l'enzyme mTOR (en anglais mechanistic target of rapamycin ou mammalian target of rapamycin, en français cible de la rapamycine chez les mammifères), qui fait partie de la famille des protéines phosphatidylinositol 3-kinase (PI3K) et a été utilisé pour le traitement de la MW récidivante.

**Examen du fond d'œil :** L'examen de l'arrière de l'œil (fond d'œil) avec un ophtalmoscope ; il permet une évaluation agrandie des vaisseaux sanguins, des nerfs et de la rétine. Cet examen est particulièrement important chez les patients MW à risque de développer un syndrome d'hyperviscosité (une condition due à une épaisseur excessive du sang causée par une IgM élevée).

**Facteur de stimulation des colonies :** Un groupe de cytokines qui contrôlent la différenciation des cellules souches en cellules sanguines matures, généralement des globules rouges ou blancs. Ils peuvent être fabriqués et administrés à des patients subissant une chimiothérapie pour aider à stimuler la production de globules rouges ou blancs dans leur moelle osseuse en cas de numération globulaire anormalement basse. Des exemples courants comprennent Neupogen, Neulasta, Procrit, Epogen et Aranesp.

**Fibrillation auriculaire ou atriale (FA) :** Une fréquence cardiaque irrégulière et souvent rapide qui peut augmenter le risque d'accident vasculaire cérébral, d'insuffisance cardiaque et d'autres complications cardiaques. Au cours de la fibrillation auriculaire, les deux cavités supérieures du cœur (les oreillettes) battent de façon irrégulière et ne sont pas en coordination avec les deux cavités inférieures (les ventricules). Les symptômes comprennent souvent des palpitations cardiaques, un essoufflement et une faiblesse. La fibrillation auriculaire est un effet secondaire associé à l'utilisation d'inhibiteurs de BTK tels que l'ibrutinib (Imbruvica).

**Fludarabine (Fludara) :** Un médicament utilisé pour traiter la leucémie lymphoïde chronique (LLC) et les lymphomes non hodgkiniens, y compris la MW. La fludarabine bloque la division cellulaire et est un type d'analogue nucléosidique.

**Gammopathie monoclonale de signification indéterminée (GMSI) (en anglais MGUS pour Monoclonal gammopathy of undetermined significance) :** Affection bénigne dans laquelle une protéine monoclonale (immunoglobuline ou chaîne légère d'immunoglobuline produite en excès) est détectée dans le sang lors des tests de laboratoire standard. Elle ne produit généralement aucun symptôme ou problème et aucun traitement n'est indiqué, bien qu'il y ait quelques exceptions, comme la neuropathie anti-MAG causée par l'IgM GMSI. Les patients atteints de GMSI ont un risque accru de développer certains cancers du sang, tels que le myélome multiple et les lymphomes, y compris la MW.

**Ganglions lymphatiques (en anglais Lymph nodes) :** Organe en forme de haricot situé dans les aisselles, l'aîne, le cou et l'abdomen qui agit comme un filtre pour le liquide lymphatique lors de son passage. Les ganglions lymphatiques sont les principaux sites où les antigènes peuvent entraîner une réponse immunitaire spécifique en activant les lymphocytes (reconnaissance de l'antigène par les anticorps situés sur la membrane des lymphocytes).

**Gène :** Une région d'ADN sur un chromosome qui contrôle un trait héréditaire chez un individu.

**Gène de type primitif (en anglais Wild type gene – WT) :** Un gène sous sa forme naturelle, forme prédominante dans une population, par opposition à un gène muté (altéré). L'abréviation WT que l'on voit dans la littérature signifie "Wild Type" se traduit par forme "sauvage" ou "naturelle".

**Gène MYD88 (en anglais, myeloid differential primary response gene 88) :** Un gène codant la protéine MYD88 qui joue un rôle central dans la réponse immunitaire naturelle et adaptative. Cette protéine est essentielle dans les voies de signalisation des récepteurs de type Interleukine-1 et type Toll (TLR en anglais) des lymphocytes B. Chez la plupart des patients MW, le gène MYD88 est muté (modifié), ce qui le rend excessivement actif. Cela provoque un excès d'activation des voies de signalisations à l'intérieur des cellules MW, entraînant une croissance et une prolifération des cellules cancéreuses (voir [MYD88 L265P](#))

**Génomique :** L'étude de l'ensemble complet d'ADN dans une seule cellule d'un organisme.

**Globule Blanc :** Aussi appelé Leucocyte. Il s'agit de toute cellule du système immunitaire qui protège l'organisme contre les maladies infectieuses et les corps étrangers. Voir [Lymphocyte](#), [Neutrophile](#), [Eosinophile](#), [Monocyte](#), [Macrophage](#) et [Cellule tueuse naturelle](#).

**Globule rouge :** Aussi appelé érythrocyte. Une cellule sanguine qui contient l'hémoglobine, la protéine qui transporte de l'oxygène des poumons vers les cellules et le dioxyde de carbone des cellules vers les poumons afin d'être éliminé (exhalé), participant ainsi au métabolisme<sup>2</sup>. Les globules rouges représentent un peu moins de la moitié du volume de sang chez les individus en bonne santé.

**Glycoprotéine associée à la myéline (en anglais, MAG pour "myelin-associated glycoprotein") :** Une protéine de membrane cellulaire trouvée dans les cellules de Schwann, qui l'utilisent pour produire une gaine de myéline qui entoure et isole de nombreux nerfs. Chez les patients présentant une MW ou une IgM GMSI (Gammopathie monoclonale de signification indéterminée, en anglais MGUS), l'attaque auto-immune provoquée par l'immunoglobuline monoclonale IgM (qui dans ce cas a une fonction d'anticorps vis à vis de la protéine MAG) peut entraîner un type de neuropathie périphérique appelée neuropathie anti-MAG.

**GMSI (en anglais MGUS) :** Voir [Gammopathie Monoclonale de Signification Indéterminée](#).

<sup>2</sup> Métabolisme : ensemble des réactions chimiques qui se déroulent à l'intérieur d'un être vivant et lui permettent notamment de se maintenir en vie et de se reproduire

**Grefe de moelle osseuse allogénique ("allo" signifie "autre") :** Une procédure qui se produit lorsque des cellules souches sont prélevées sur une autre personne, appelée donneur, et administrées au patient après que celui-ci a reçu une chimiothérapie

**Granulocyte :** Un globule blanc qui attaque et détruit les bactéries. Il a des granules dans son cytoplasme, d'où son nom, et comprend les [neutrophiles](#), les [éosinophiles](#) et les basophiles. Normalement, les neutrophiles sont de loin les granulocytes les plus courants.

**Grefe de moelle osseuse :** Une greffe de moelle osseuse (également appelée greffe de cellules souches de moelle osseuse) est une procédure visant à remplacer la moelle osseuse endommagée ou malade par des cellules souches de moelle osseuse saines. Ces cellules souches peuvent être collectées directement à partir de la moelle osseuse, ou plus communément, de la circulation sanguine par apherèse (un processus similaire à la plasmaphérèse). Il existe trois types de greffes de moelle osseuse :

**Grefe de moelle osseuse allogénique ("allo" signifie "autre") :** Une procédure qui se produit lorsque des cellules souches sont prélevées sur une autre personne, appelée donneur, et administrées au patient après que celui-ci a reçu une chimiothérapie à haute dose et / ou une radiothérapie pour détruire sa propre moelle osseuse. Ces cellules souches qui sont données rétablissent la moelle osseuse. Le donneur doit avoir une constitution génétique identique ou similaire à celle du patient, de sorte qu'il ou elle est un donneur compatible. Des analyses de sang spéciales sont effectuées pour déterminer si un donneur est compatible, un frère ou une sœur est le plus susceptible d'être un bon donneur compatible. Cependant, les parents, les enfants et d'autres membres de la famille peuvent parfois être de bons donneurs compatibles. Les donneurs qui ne sont pas apparentés au patient mais dont la moelle correspond étroitement peuvent être trouvés dans les registres nationaux de moelle osseuse.

**Grefe de moelle osseuse autologue ("auto" signifie "soi") :** Une procédure qui se produit lorsque les cellules souches sont retirées du patient avant qu'il ne reçoive une chimiothérapie à haute dose et / ou une radiothérapie pour détruire la moelle osseuse. Une fois la chimiothérapie et / ou les traitements de radiothérapie terminés, les propres cellules souches du patient qui ont été collectées précédemment sont rendues afin de rétablir la moelle osseuse.

**Grefe de moelle osseuse allogénique avec conditionnement à intensité réduite :** Un type de greffe allogénique qui utilise de plus petites doses de chimiothérapie et / ou de radiothérapie pour les patients qui ne peuvent pas être en mesure de tolérer une greffe allogénique de pleine intensité, par exemple, les patients plus âgés ou ceux avec des problèmes médicaux multiples. Parfois appelée greffe "mini-allo".

**HCK (Kinase cellulaire hématopoïétique, en anglais Hematopoietic cell kinase) :** Une molécule de signalisation de la classe kinase, située à l'intérieur des cellules. Certains chercheurs émettent l'hypothèse que l'activité HCK est excessive dans les cellules MW et tentent de découvrir un médicament pour inhiber HCK.

**Hématocrite (Hct) :** Une mesure des globules rouges en pourcentage du sang total.

**Hématologue-oncologue :** Un médecin spécialisé dans le diagnostic et le traitement des maladies du sang, en particulier les cancers des cellules sanguines. Ce médecin est formé en hématologie (étude du sang) et en oncologie (étude du cancer).

**Hématopoïèse :** Le processus de formation des cellules sanguines.

**Hémoglobine (Hb ou Hgb) :** La protéine de transport de l'oxygène contenant du fer dans les globules rouges qui transporte l'oxygène des poumons vers le reste du corps où elle libère de l'oxygène aux cellules pour le métabolisme. Elle recueille également le dioxyde de carbone résultant pour le ramener aux poumons pour être expiré.

**Hémolyse :** Rupture ou destruction des globules rouges.

**Hépatosplénomégalie :** Hypertrophie du foie (hépatomégalie) et de la rate (splénomégalie). Elle peut survenir à la suite de maladies infectieuses et de troubles sanguins.

**Hepcidine :** Une protéine clé dans la régulation du fer circulant (fer sérique). Lors d'une affection dans laquelle le taux d'hepcidine est anormalement élevé, le fer sérique diminue en raison du piégeage du fer dans les [macrophages](#) et dans les cellules hépatiques et entraîne une diminution de l'absorption intestinale du fer. Cela conduit généralement à une anémie due à une quantité insuffisante de fer sérique disponible pour le développement des globules rouges. Des taux élevés d'hepcidine ont été observés chez les patients MW.

**Hyaluronidase :** Une enzyme ajoutée à certains médicaments biologiques, qui sont normalement administrés sous forme de perfusions intraveineuses lentes, pour permettre une injection sous-cutanée plus rapide. L'hyaluronidase est une enzyme qui dégrade temporairement l'acide hyaluronique dans le tissu sous-cutané, permettant l'injection d'un plus grand volume de médicament de ce qui serait normalement possible. Le médicament est ensuite lentement absorbé dans le corps. Le rituximab est désormais disponible en association avec l'hyaluronidase pour injection sous-cutanée (NDT : l'injection sous-cutanée ne fait pas partie en France du protocole standard d'admission du rituximab).

**Hycela :** Le nom de marque de l'hyaluronidase (voir [Hyaluronidase](#))

**Hypertension :** Hypertension artérielle.

**Hyperviscosité :** Viscosité excessive du sang.

**Hypogammaglobulinémie :** Un type de déficit immunitaire caractérisé par une réduction des immunoglobulines normales (anticorps) telles que les IgA, IgG ou IgM. Si nécessaire, il peut être traité avec des perfusions d'immunoglobuline intraveineuse (IgIV).

**Hypotension :** Pression artérielle basse.

**Ibrutinib (Imbruvica) :** Un médicament oral qui cible et inhibe la [tyrosine kinase de Bruton](#) (BTK), une enzyme qui est importante dans le développement et l'activation des cellules B et qui est souvent suractivée dans la MW. C'est le premier médicament approuvé par la FDA pour le traitement de la MW. Récemment, l'association d'ibrutinib et de rituximab (Rituxan) a également été approuvée pour la MW.

**Immunodépression :** Un affaiblissement de la réponse immunitaire.

**Immunofixation :** Un test de laboratoire utilisé pour identifier les immunoglobulines (anticorps) présentes dans un échantillon de sérum ou d'urine.

**Immunoglobuline<sup>3</sup> (Ig) :** Voir [Anticorps](#). Les immunoglobulines sont divisées en cinq classes de base (IgA, IgD, IgE, IgG, IgM) en fonction de leur structure et de leur activité :

<sup>3</sup> Les immunoglobulines sont des protéines de structure tridimensionnelle complexe comprenant un assemblage organisé de chaînes légères et de chaînes lourdes.

**Immunoglobuline A (IgA) :** joue un rôle crucial dans la fonction immunitaire des muqueuses. La quantité d'IgA produite dans les muqueuses est supérieure à celle de tous les autres types d'anticorps combinés, elle se trouve dans les larmes, la salive, le lait maternel et les sécrétions des voies génito-urinaires, de l'appareil gastro-intestinal, de la prostate et du système respiratoire.

**Immunoglobuline D (IgD) :** Trouvée en très petites quantités dans le sang, sa fonction a été un peu un casse-tête depuis sa découverte. L'IgD signale aux lymphocytes B de s'activer, pour être prêts à participer à la défense du corps. Au cours du développement des cellules B, l'IgM est exclusivement exprimée par les cellules B immatures. Au fur et à mesure que la cellule B mûrit, l'IgD est co-exprimée avec l'IgM.

**Immunoglobuline E (IgE) :** Fonctionne principalement pour fournir une immunité aux parasites. Il joue également un rôle essentiel dans les réponses d'hypersensibilité telles que les allergies. C'est l'immunoglobuline la moins abondante dans le sang.

**Immunoglobuline G (IgG) :** Constitue 75% des immunoglobulines sériques chez l'homme. Les anticorps IgG apparaissent généralement plus tardivement en réponse à une exposition initiale à un antigène, mais lors d'une réexposition au même antigène, ils sont importants alors pour déterminer la force de la réponse immunitaire ultérieure.

**Immunoglobuline G intraveineuse (IgIV) :** Un produit sanguin administré dans la veine afin de renforcer l'immunité. Il contient les IgG regroupées extraites du plasma de nombreux donneurs. Les effets des IgG intraveineuses durent entre 2 semaines et 3 mois. Ce produit est également disponible pour une administration sous-cutanée.

**Immunoglobuline M (IgM) :** De loin, c'est physiquement le plus gros anticorps du système circulatoire humain. Sa taille peut entraîner une augmentation de la viscosité du sang s'il est produit en grandes quantités. C'est le premier anticorps à apparaître en réponse à une exposition initiale à l'antigène et réapparaît généralement, dans une moindre mesure, après une exposition ultérieure.

**Immunohistochimie :** Désigne l'utilisation de colorants spéciaux pour identifier les antigènes dans les cellules d'une coupe de tissu à des fins d'identification. Cette procédure est largement utilisée dans le diagnostic de cellules anormales telles que celles trouvées dans le cancer.

**Immunothérapie :** Un traitement pour renforcer ou restaurer la capacité de son propre système immunitaire à combattre le cancer, les infections et d'autres maladies. Les agents utilisés en immunothérapie comprennent les anticorps monoclonaux, les vaccins idiotypiques, les lymphocytes CAR T et les inhibiteurs de point de contrôle immunitaire.

**Indolent :** Croissance lente.

**Infusion :** L'introduction de liquide dans une veine.

**Inhibiteur :** Un médicament pour bloquer ou inactiver une molécule spécifique.

**Inhibiteur de point de contrôle :** Voir [Inhibiteur de point de contrôle immunitaire](#).

**Inhibiteur de protéasome :** Un médicament qui bloque l'action des protéasomes. Un protéasome est un grand complexe de protéine qui aide à détruire d'autres protéines cellulaires quand elles ne sont plus nécessaires. Quand l'action du protéasome est bloquée, les déchets protidiques de la cellule ne sont pas détruits, s'accumulent dans la cellule et finissent par la tuer. Les inhibiteurs du protéasome sont utilisés dans le traitement du myélome multiple et de la MW. Des exemples d'inhibiteurs du protéasome comprennent le bortézomib (Velcade), le carfilzomib (Kyprolis) et l'ixazomib (Ninlaro).

**Inhibiteur du point de contrôle immunitaire :** Les points de contrôle immunitaires freinent et empêchent les cellules immunitaires de tuer les cellules cancéreuses. Les inhibiteurs de point de contrôle immunitaire "relâchent les freins et actionnent le gaz", permettant aux cellules immunitaires de tuer les cellules cancéreuses. Ces médicaments contrecarrent certaines des principales défenses d'une cellule cancéreuse contre une attaque du système immunitaire. Les points de contrôle immunitaires sont des signaux moléculaires spécifiques qui réduisent ou désactivent une réponse immunitaire lorsqu'elle n'est plus nécessaire. Certaines cellules cancéreuses ont exploité ce mécanisme corporel normal en exprimant des protéines qui activent des points de contrôle sur les cellules immunitaires. Cela désactive les cellules immunitaires, les empêche d'attaquer les cellules cancéreuses et permet aux cellules cancéreuses de rester indemnes. Les médicaments appelés inhibiteurs de point de contrôle réactivent les cellules immunitaires afin qu'elles puissent attaquer les cellules cancéreuses. Les exemples d'inhibiteurs du point de contrôle immunitaire comprennent le nivolumab (Opdivo), le pembrolizumab (Keytruda) et l'ipilimumab (Yervoy). Voir [PD-1](#) et [PD-L1](#).

**Injection :** L'utilisation d'une seringue et d'une aiguille pour pousser des liquides ou des médicaments dans le corps ; souvent appelé un "coup".

**Interleukine (IL) :** Un groupe de cytokines produit par les lymphocytes, les monocytes et d'autres cellules qui induisent la croissance et la différenciation des cellules lymphoïdes et des cellules souches hématopoïétiques. Chaque interleukine distincte est désignée par un numéro (tel que "IL-2" ou "IL-6").

**Intraveineuse (IV) :** Dans la veine.

**In vitro :** Littéralement "en verre". Terme utilisé pour décrire des expériences effectuées sur des cellules ou des molécules à l'extérieur du corps ("dans des tubes à essai").

**In vivo :** Littéralement "dans la vie". Un terme utilisé pour décrire des expériences sur des organismes vivants.

**IRAK (kinase associée au récepteur de l'interleukine, en anglais interleukin receptor-associated kinase) :** Une famille de protéines de signalisation qui jouent un rôle vital dans l'immunité, en particulier dans les maladies auto-immunes et inflammatoires. On pense que plusieurs membres de cette famille jouent un rôle important dans la pathogenèse de la MW et pourraient être des cibles pour une thérapie future.

**Kinase :** Une protéine à l'intérieur des cellules qui envoie souvent des signaux d'une partie de la cellule à une autre. Les kinases le font en ajoutant un groupe phosphate à une autre protéine. L'ajout d'un groupe phosphate active ou inactive la protéine réceptrice. Un exemple de kinase est BTK. Dans les cellules MW, BTK envoie des signaux de MYD88 à d'autres parties de la cellule. Les inhibiteurs de BTK, tels que l'ibrutinib, sont appelés inhibiteurs de kinase, car ils bloquent la capacité des kinases telles que BTK à envoyer des signaux.

**Ixazomib (Ninlaro) :** Un médicament utilisé pour le traitement du myélome multiple et de certains types de lymphome, y compris la MW. Il appartient à la classe de médicaments appelés inhibiteurs du protéasome.

**LDGCB (lymphome diffus à grandes cellules B) :** Une forme de lymphome plus agressive que la MW. Parfois, les cellules MW se transforment (changent) et le patient développe un LDGCB. Cela nécessite différents types de thérapies.

**Lactate déshydrogénase (LDH) :** Une enzyme largement présente dans les tissus tels que les cellules sanguines et le muscle cardiaque. Elle est libérée lors de lésions tissulaires et peut donc être un marqueur d'agressions et de maladies courantes. La LDH peut être élevée dans certains cancers, y compris la MW, en particulier lors de la progression de la maladie.

**Leucémie lymphoïde chronique (LLC) :** Un type de cancer du sang dans lequel la moelle osseuse produit trop de lymphocytes B. Il survient généralement chez les personnes âgées, est généralement indolent et provoque une hypertrophie des ganglions lymphatiques. Étant donné que la LLC et la MW partagent certaines caractéristiques, plusieurs médicaments utilisés pour traiter la LLC peuvent également être utilisés pour traiter la MW.

**Leucocyte :** Voir [Globule blanc](#).

**Leucopénie :** Un nombre anormalement bas de globules blancs.

**Lignée cellulaire :** Une culture de cellules en croissance continue utilisées dans la recherche en laboratoire. Les lignées cellulaires sont à l'origine dérivées des cellules cancéreuses des patients. Normalement, les cellules cancéreuses prélevées directement sur les patients (appelées "cellules primaires") ne se développent pas bien dans des conditions de laboratoire. Les lignées cellulaires sont dérivées de cellules cancéreuses qui ont changé de manière à leur permettre de se développer en laboratoire. Les lignées cellulaires MW sont utiles car elles permettent aux chercheurs de tester efficacement de nouveaux médicaments. Cependant, comme les lignées cellulaires diffèrent des cellules cancéreuses dans le corps des patients, les résultats des lignées cellulaires ne prédisent pas nécessairement les résultats des médicaments chez les patients.

**Lymphadénopathie :** hypertrophie des ganglions lymphatiques.

**Lymphes :** Un liquide incolore contenant des globules blancs dans lequel baignent les tissus. Il s'écoule à travers le système lymphatique dans la circulation sanguine.

**Lymphocyte :** globule blanc appelé cellule B ou cellule T.

**Lymphome :** Cancer du système lymphatique. Les lymphomes sont classés généralement en deux sous-ensembles : le lymphome de Hodgkin et les lymphomes nonhodgkiniens.

**Lymphome de la zone marginale (Marginal zone lymphoma – MZL) :** Groupe de lymphomes indolents non hodgkiniens à cellules B qui peuvent être trouvés dans la rate, les ganglions lymphatiques, les glandes salivaires, l'estomac, l'intestin grêle, les yeux et les poumons. Les lymphomes de la zone marginale peuvent partager certaines caractéristiques avec la MW et d'autres lymphomes indolents, ce qui peut compliquer le diagnostic de la MW.

**Lymphome folliculaire (LF) :** Le lymphome non hodgkinien indolent à cellules B le plus courant, provoquant généralement une hypertrophie des ganglions lymphatiques.

**Lymphome lymphoplasmocytaire (en anglais LPL pour Lymphoplasmacytic lymphoma) :** Le type de lymphome nonhodgkinien à cellules B qui inclue la MW. Il se réfère à la morphologie des cellules qui sont généralement d'apparence intermédiaire entre les lymphocytes et les plasmocytes. La MW est le type le plus courant de LPL, son autre caractéristique étant la production d'IgM monoclonales. D'autres types de LPL ne sécrètent pas d'IgM monoclonale.

**Lymphome non hodgkinien (en anglais NHL pour Non-Hodgkin's lymphoma) :** Les lymphomes non hodgkiniens constituent un groupe diversifié de cancers du sang qui incluent tout type de lymphome, sauf le lymphome de Hodgkin. Les lymphomes non hodgkiniens peuvent survenir à tout âge et sont souvent caractérisés par des ganglions lymphatiques plus grands que la normale, de la fièvre et de la perte de poids. Ces différents types peuvent être divisés en agressifs (croissance rapide), intermédiaires et indolents (croissance lente) et peuvent provenir soit de cellules B ou de cellules T.

**Macroglobulinémie de Waldenström (MW) (en anglais WM pour Waldenstrom's macroglobulinemia) :** Maladie dusang qui produit un clone de lymphocytes B anormaux qui produisent à leur tour une immunoglobuline IgM en excès. La variété, la localisation (moelle osseuse, ganglions, organes...) et la nature des symptômes dépendront à la fois de l'excès de ces lymphocytes, de la quantité et des propriétés de l'IgM. Il s'agit d'un type de lymphome non hodgkinien à cellules-B. Cancer du système lymphatique, il est parfois appelé lymphome lymphoplasmocytaire (en anglais lymphoplasmacytic lymphoma - LPL) associé à une Paraprotéine IgM monoclonale. La maladie survient dans un type de globule blanc appelé lymphocyte-B ou cellule-B, qui mûrit normalement en une cellule plasmatique dont la fonction est de fabriquer des immunoglobulines (anticorps) pour aider le corps à combattre l'infection. Dans la MW, la cellule-B devient maligne dans les derniers stades de sa maturation produisant un clone de cellules-B identiques, que l'on retrouve principalement dans la moelle osseuse mais aussi dans les ganglions lymphatiques et d'autres organes du système lymphatique. Ces cellules-B clonales créent en surnombre un anticorps (une immunoglobuline puisque c'est la fonction initiale de cette cellule) d'une classe spécifique appelée IgM. Au microscope, les cellules MW présentent à la fois des caractéristiques de lymphocytes B et de plasmocytes; elles sont appelées cellules lymphoplasmocytaires, d'où la classification de la MW comme lymphome lymphoplasmocytaire. La variété des symptômes qui résultent de la MW est la conséquence de la présence des cellules lymphoplasmocytaires et / ou de l'IgM monoclonale.

**Macroglobulinémie de Waldenström latente (en anglais Smoldering Waldenstrom's macroglobulinemia - SWM) :** Caractérisée cliniquement comme suit : présence d'une protéine d'immunoglobuline M monoclonale sérique (IgM) égale ou supérieure à 3 g/dl et/ou une infiltration lymphoplasmocytaire de la moelle osseuse égale ou supérieure à 10 %, anémie, symptômes constitutionnels (par exemple : fièvre, perte de poids, fatigue, anorexie...), hyperviscosité, ganglions lymphatiques enflés/agrandis (lymphadénopathie), ou hypertrophie du foie et de la rate (hépatosplénomégalie) mais sans signe d'atteinte d'organe majeur. Les patients atteints de MW et [asymptomatiques](#) ne sont pas traités, mais sont surveillés jusqu'à l'apparition des symptômes nécessitant un traitement.

**Macrophage (du grec "gros mangeur") :** Un globule blanc qui provient d'un monocyte, devient mobile et pénètre dans les tissus pour participer à la réponse immunitaire. Il existe de nombreux types de macrophages, y compris ceux qui tuent les tumeurs et d'autres qui favorisent la croissance tumorale. Certaines thérapies d'immuno-oncologie<sup>4</sup> récentes visent à activer des macrophages tueurs de tumeurs. D'autres nouvelles thérapies convertissent les macrophages qui favorisent la croissance de tumeurs en macrophages tueurs de tumeurs.

**Maladie des agglutinines froides (MAF) :** Une maladie auto-immune causée par ses propres anticorps qui se lient aux globules rouges aux températures plus froides atteintes dans les capillaires de la peau et des tissus sous-cutanés. Cela peut provoquer une destruction des globules rouges (hémolyse), pouvant conduire à une anémie. L'affection peut être observée chez certains patients avec la MW.

<sup>4</sup>Le principe de l'immuno-oncologie est de réapprendre au système immunitaire de l'organisme à détruire les cellules cancéreuses.

**Maladie du greffon contre l'hôte (acronyme anglais GVHD pour Graft vs. Host disease) :** Une complication qui peut survenir à la suite d'une greffe de cellules souches allogéniques, dans laquelle les cellules immunitaires du donneur voient les cellules du receveur comme étrangères et les attaquent, provoquant divers symptômes.

**Maladie extramédullaire :** dans le cas d'un lymphome, il s'agit d'une ou plusieurs masse(s) de cellules lymphoïdes cancéreuses en dehors de la moelle osseuse.

**Mastocyte :** Cellule distribuée près des vaisseaux sanguins dans la plupart des tissus, y compris la moelle osseuse. Les mastocytes sont souvent associés à des réactions allergiques et sont censés offrir un soutien aux cellules malignes de la MW.

**Mavorixafor :** Médicament oral utilisé pour inhiber CXCR4 (récepteur de chimiokine C-X-C de type 4). Il est utilisé dans les essais cliniques sur la MW.

**MB-106 :** Une thérapie par cellules CAR T autologues de troisième génération ciblée sur CD20 pour le traitement des patients atteints de lymphomes non hodgkiniens à cellules B en rechute ou réfractaires. Le MB-106 a démontré un taux de réponse global de 100% dans la MW lors d'un essai clinique de phase I/2.

**Médecine de précision :** Une démarche dans le traitement du cancer qui vise à exploiter de nouvelles informations génétiques relatives à un cancer spécifique pour cibler plus précisément le traitement. Il cherche à définir les altérations génétiques qui sont à l'origine d'un cancer spécifique, plutôt que de s'appuyer sur une simple classification générale du cancer basée uniquement sur son origine.

**Médicament générique :** Une copie presque identique d'un médicament biologique original, tel qu'un anticorps monoclonal, qui peut être fabriqué lorsque le brevet du médicament biologique original a expiré. Si un médicament générique est approuvé par un organisme de réglementation, il est considéré comme aussi sûr et efficace que le médicament original qui a été copié. Les médicaments génériques du rituximab (Rituxan) qui ont été approuvés en Europe, aux États-Unis et / ou au Canada comprennent Truxima, Rixathon et Ruxience, et d'autres biosimilaires à l'étude.

**Médicament immunomodulateur (IMiD) :** Une classe de médicaments constituée de la thalidomide, la lénalidomide et le pomalidomide, utilisée dans le traitement du myélome multiple et, moins fréquemment de la MW. Ces médicaments ne sont pas des médicaments de chimiothérapie traditionnels ; leur mécanisme d'action n'est pas complètement élucidé, mais ils sont anti-angiogéniques (inhibent la croissance de nouveaux vaisseaux sanguins) et aident à stimuler la production de cellules T et de [cellules tueuses naturelles](#).

**Métabolomique :** étude d'un grand nombre de métabolites : petit composé organique intermédiaire ou issu du métabolisme. La recherche en métabolomique est utilisée pour découvrir des marqueurs servant à diagnostiquer le cancer. Plus précisément pour déterminer les voies métaboliques impliquées dans le cancer qui pourraient être utilisées pour de nouvelles cibles de traitement ainsi que pour trouver des marqueurs indiquant le succès du traitement.

**mg :** Abréviation de milligrammes. La plupart des doses de médicaments sont mesurées en milligrammes.

**Microenvironnement de la moelle osseuse :** Le voisinage immédiat des cellules sanguines dans la moelle osseuse. Il est composé de cellules de support (voir [Stroma](#)) et des protéines de signalisation qu'elles produisent pour faciliter la survie, la différenciation et la prolifération de différents types de cellules sanguines.

**Moelle osseuse :** Le tissu spongieux occupant la cavité centrale creuse des os qui est le site de l'hématopoïèse (formation de cellules sanguines). Chez les adultes, la moelle est la plus active dans la colonne vertébrale, les côtes, le sternum, les hanches, les épaules et le crâne.

**Monoclonal** : Qui caractérise un groupe de cellules identiques produites par la réplication répétée d'une seule cellule initiale. Voir [Clone](#).

**Monocyte** : Un type de globule blanc présent dans le sang, qui représente 2 à 5 % des globules blancs en circulation. Les monocytes peuvent se différencier en [macrophages](#), qui participent à la réponse immunitaire.

**Monothérapie** : Traitement d'une affection à l'aide d'un seul médicament.

**Mort Programmée-I (en anglais Programmed Death-I, PD-I)** : PD-I est une protéine des cellules immunitaires qui agit comme un frein en empêchant ces cellules immunitaires de tuer les cellules cancéreuses. PD-I, appelé "point de contrôle", est situé à la surface des cellules T. Lorsqu'il est activé, PD-I supprime les réponses immunitaires des lymphocytes T. En temps normal, PD-I est activé lorsqu'une infection est terminée afin d'éviter une réponse immunitaire excessive ou des maladies auto-immunes. Certaines cellules cancéreuses ont développé un moyen d'exploiter cette activation de PD-I en exprimant le gène PD-L1 leur permettant ainsi de produire la protéine capable de se lier à PD-I. L'interaction entre PD-L1 et PD-I vient activer PD-I empêchant ainsi les cellules T d'attaquer les cellules cancéreuses. Certaines réponses immunitaires anti-cancéreuses naturelles sont ainsi stoppées. Des médicaments tels que Opdivo (nivolumab) et Keytruda (pembrolizumab) ont été développés pour inhiber l'activation du PD-I. Ces médicaments sont appelés "inhibiteurs de point de contrôle". Ils font actuellement l'objet d'essais cliniques pour la MW (voir [Inhibiteurs du point de contrôle immunitaire](#)).

**Mort Programmée-Ligand I (en anglais Programmed Death-Ligand I, PD-L1)** : PD-L1 est une protéine qui se lie (Ligand) à PD-I et l'active (voir [PD-I](#)). Situé sur la membrane extérieure du lymphocyte T, PD-L1 une fois activé supprime les réponses immunitaires du lymphocyte T. Certaines cellules cancéreuses ont développé un moyen d'exploiter l'activation de PD-I en exprimant le gène PD-L1 leur permettant ainsi de produire la protéine capable de se lier à PD-I, empêchant alors les cellules T d'attaquer les cellules cancéreuses. Des médicaments tels que Tecentriq (atezolizumab), Imfinzi (durvalumab) et Bavencio (avelumab) se lient au PD-L1 et l'empêchent d'interagir avec PD-I. Comme Opdivo et Keytruda, qui se lient directement au PD-I (voir ci-dessus), ces médicaments capables de se lier au PD-L1 sont également appelés "inhibiteurs de point de contrôle".

**Mucosite (ou mucite)** : Complication de certaines thérapies contre le cancer, dans laquelle le revêtement de l'appareil digestif devient enflammé ; se manifeste souvent par des plaies dans la bouche.

**Mutation** : Tout changement dans l'ADN d'une cellule.

**MYD88 L265P** : Une mutation dans le gène MYD88 qui remplace l'acide aminé leucine par la proline à la position 265 du gène. Cette mutation se rencontre chez 90 à 95% des patients atteints de la MW et joue un rôle important dans le développement et la prolifération des cellules MW. La présence de cette mutation participe au diagnostic de la MW et peut avoir un impact sur la réponse à certains traitements.

**Myélodysplasie (MDS)** : Une affection produisant des cellules sanguines anormales dans la moelle osseuse qui peut conduire à la leucémie. Le traitement par certains agents chimiothérapeutiques peut augmenter le risque de développer une myélodysplasie.

**Myélome multiple (MM)** : Un cancer des plasmocytes. Les plasmocytes du myélome multiple sécrètent le plus souvent des IgG monoclonales et moins fréquemment des IgA ou des IgM. Étant donné que le myélome multiple et la MW partagent certaines caractéristiques, plusieurs médicaments utilisés pour traiter le myélome multiple peuvent également être utilisés pour traiter la MW.

**Myélosuppression** : Une maladie dans laquelle l'activité de la moelle osseuse est diminuée, ce qui entraîne une diminution des plaquettes, des globules rouges et blancs. La myélosuppression peut être un effet secondaire de certains traitements contre le cancer.

**n** : Le nombre de personnes ou d'animaux inclus dans une expérience ou un essai clinique, ou le nombre dans chaque groupe au sein de l'expérience ou de l'essai. Plus un essai est important, plus le n est élevé.

**Nemtabrutinib (ARQ-531)** : Un inhibiteur expérimental de la [tyrosine kinase de Bruton](#) (BTK) qui se lie à la BTK de façon différente comparativement à l'ibrutinib (Imbruvica), empêchant en théorie la résistance causée par la mutation BTK-C481S.

**Néoplasme** : Synonyme de tumeur ou de cancer. "Néoplasme" est un nom. "Néoplasique" est l'adjectif correspondant (comme dans "cellule néoplasique").

**Neuropathie périphérique (NP) (en anglais PN pour Peripheral neuropathy)** : Un dysfonctionnement permanent ou transitoire des nerfs périphériques (en dehors du cerveau et de la moelle épinière). Les symptômes de la neuropathie peuvent inclure engourdissement, faiblesse, picotements, sensation de brûlure et perte de réflexes (habituellement dans les mains et / ou les pieds). La douleur peut être légère ou grave et invalidante. À noter que plusieurs types d'affections peuvent provoquer des neuropathies périphériques.

**Neutropénie** : Une quantité de neutrophiles inférieure à la normale.

**Neutrophiles** : Connus également comme polynucléaires neutrophiles ou neutrophiles, ce sont des types plurinucléés de globules blancs qui ont plus d'un noyau par cellule avec un cytoplasme commun. Ils constituent le type de globule blanc le plus abondant et forment une partie essentielle du système immunitaire naturel, réagissant rapidement aux bactéries envahissantes ou aux objets étrangers. Le pus est composé d'un grand nombre de neutrophiles.

**NF kappa B (aussi noté NF- $\kappa$ B)** : Complexe protéique qui contrôle la transcription de l'ADN et joue un rôle clé dans la régulation de la réponse immunitaire à l'infection. Une régulation incorrecte (activation généralement excessive) de NF kappa B a été associée au cancer, aux maladies inflammatoires et auto-immunes. Il joue un rôle important dans la croissance et la prolifération des cellules MW.

**Non clinique (préclinique)** : Essais réalisés sur des animaux.

**Numération formule sanguine ou Formule sanguine complète (NFS ou FSC)** : Une numération formule sanguine complète est un panel de test demandé par un médecin ou un autre professionnel de la santé qui donne des informations sur les cellules du sang d'un patient. Les cellules qui circulent dans la circulation sanguine sont généralement divisées en trois types : les globules blancs (leucocytes), les globules rouges (érythrocytes) et les plaquettes (thrombocytes). Des numérations anormalement élevées ou faibles peuvent indiquer la présence de nombreuses formes de maladies, et par conséquent, les numérations globulaires sont parmi les analyses de sang les plus couramment effectuées en médecine, car elles peuvent donner un aperçu de l'état de santé général d'un patient. Les composants d'une NFS / FSC sont les suivants :

**Indices des globules rouges** : Ils fournissent des informations importantes sur le volume globulaire moyen ou la taille (VGM), la teneur corpusculaire moyenne en hémoglobine (TCMH) et la concentration corpusculaire moyenne en hémoglobine (CCMH) des globules rouges. L'indice de distribution des globules rouges (IDR) est une mesure quantitative de la variation de la taille des globules rouges.

**Numération des globules rouges, hémoglobine et hématocrite :** Une numération des globules rouges (GR) fournit des informations sur le nombre de globules rouges dans une quantité de sang donnée, ainsi que sur la quantité d'hémoglobine (Hgb ou Hb) et le pourcentage de globules rouges (hématocrite ou Hct) dans l'échantillon.

**Numération et différenciation des globules blancs :** Également appelée numération leucocytaire, la numération des globules blancs (acronyme anglais WBC) détermine le nombre de globules blancs dans une quantité de sang donnée. La différenciation des globules blancs est utilisée pour évaluer la distribution des cinq principaux types de globules blancs dans le sang : [neutrophiles](#), [lymphocytes](#), [monocytes](#), [éosinophiles](#) et basophiles. Certains laboratoires combinent les neutrophiles, les éosinophiles et les basophiles dans une seule catégorie appelée granulocytes, car ces cellules ont toutes des granules dans leur cytoplasme. Une numération des globules blancs dépiste un large éventail de maladies et d'affections et peut aider à diagnostiquer une infection ou un processus inflammatoire ; peut déterminer la présence d'autres maladies qui affectent la numération des globules blancs telles que les allergies, la leucémie, le lymphome ou les troubles immunitaires ; peut surveiller la progression de conditions telles que celles mentionnées ci-dessus et peut surveiller la réponse de la moelle osseuse à divers traitements.

**Numération plaquettaire et volume plaquettaire moyen :** Une numération plaquettaire (PLT) fournit des informations sur le nombre de plaquettes dans une quantité de sang donnée, et le volume plaquettaire moyen (VPM) fournit des informations sur leur volume ou leur taille.

**Obinutuzumab (Gazyva) :** Un anticorps monoclonal humanisé qui a été approuvé pour le traitement de la leucémie lymphoïde chronique. Comme le rituximab (Rituxan), il vise la protéine CD20 sur les cellules B.

**Ofatumumab (Arzerra / HuMax-CD20) :** Médicament de thérapie par anticorps monoclonal entièrement humain qui se lie au CD20, une protéine à la surface des cellules B normales et de la plupart des tumeurs des cellules B. Dans la MW, il est principalement utilisé dans les cas où les patients sont intolérants au rituximab (Rituxan).

**Omiques (Omics en anglais) :** Analyse de grands ensembles de molécules biologiques. La métabolomique fait référence à l'analyse des métabolites corporels, la génomique est l'analyse des gènes et la transcriptomique est l'analyse des transcriptions d'ARN (voir [Métabolomique](#), [Génomique](#) ou [Transcriptomique](#)). L'omique est le terme général pour ce type d'analyse, quel que soit le type de molécule biologique.

**Orelabrutinib :** Une petite molécule inhibitrice de la tyrosine kinase de Bruton (BTKi) développée pour le traitement du cancer et des maladies auto-immunes. Ce BTKi a la capacité de traverser la barrière hémato-encéphalique et pourrait atteindre sa cible dans le système nerveux central. Il est approuvé par la FDA comme thérapie révolutionnaire pour le traitement du lymphome du manteau récidivant/réfractaire. L'orelabrutinib est actuellement à l'étude dans des essais cliniques chez des patients MW.

**p (ou valeur p, p value en anglais) :** Une mesure de la pertinence statistique d'une expérience. p est utilisé pour évaluer la probabilité que les résultats d'une expérience ou d'un essai clinique sont dus soit au hasard ( $p \sim 1$ ) soit au traitement expérimental (p petit). Les valeurs de p peuvent varier de 1 à de très petits nombres. Par convention, la plupart des chercheurs utilisent p inférieur à 0,05 pour indiquer que les résultats étaient très probablement dus au médicament plutôt qu'au hasard.

**Panel métabolique complet (PMC ou CMP en anglais) :** Un panel de 14 tests sanguins environ qui est un outil de dépistage initial. Parce qu'il est souvent prescrit dans le cadre d'un examen physique annuel ou d'un contrôle, le PMC fournit au fil du temps une base de référence importante de la physiologie de base d'un patient, y compris la fonction rénale, la fonction hépatique et l'équilibre électrolytique et hydrique. Tous les changements ou résultats anormaux, et en particulier les combinaisons de résultats anormaux, fournissent ainsi des données initiales importantes pour le diagnostic, dans ce cas des tests plus spécialisés peuvent être indiqués. En plus d'être utilisé dans le cadre des examens physiques de routine pour les patients en bonne santé, le PMC peut être administré pour surveiller l'état d'un patient atteint d'une maladie chronique.

**Paraprotéine :** Une protéine plasmatique anormale, telle que l'IgM monoclonale de la MW. Aussi appelé un pic monoclonal ou une protéine monoclonale.

**PCR spécifique de l'allèle (réaction en chaîne par polymérase spécifique à un allèle) :** Une technique génétique qui utilise des tests de réaction en chaîne par polymérase pour détecter s'il existe une variation dans un gène, appelé allèle, situé à un emplacement donné sur un chromosome. La PCR spécifique de l'allèle (AS-PCR en anglais) est recommandée pour détecter la mutation MYD88 courante chez les patients MW. Pour une description de la technique, voir [Réaction en chaîne par polymérase](#).

**Pharmacocinétique :** Étude de la concentration du médicament dans le sang et les tissus corporels à différents moments. Certains médicaments atteignent rapidement une concentration élevée dans le sang et sont ensuite éliminés du corps. D'autres médicaments restent dans le sang plus longtemps.

**Phénomène de Raynaud :** Affection dans laquelle le spasme des petits vaisseaux sanguins, généralement déclenché par le froid, provoque des épisodes de diminution du flux sanguin vers les doigts et, moins fréquemment, les orteils, le nez, les oreilles ou les lèvres. Les épisodes au cours desquels la partie affectée devient blanche puis bleue. Souvent, un engourdissement ou une douleur survient. Lorsque le flux sanguin revient, la zone devient rouge et ébrûlée. Aussi connu sous le nom de syndrome de Raynaud.

**PI3K (phosphoinositide 3-kinase) :** Ce groupe de protéines joue un rôle important dans la transmission des signaux depuis l'extérieur des cellules vers diverses voies de signalisation intracellulaires impliquées dans la régulation du cycle cellulaire, l'apoptose (mort cellulaire programmée), la réparation de l'ADN, la sénescence (vieillesse cellulaire), l'angiogenèse (formation de vaisseaux sanguins) et le métabolisme cellulaire. Dans certains cancers, ces protéines sont hyperactives, permettant ainsi aux cellules cancéreuses de se développer et de proliférer. Divers inhibiteurs pour cibler la PI3K sont en cours de développement, et plusieurs sont en cours de test pour la MW. Il s'agit notamment du copanlisib (Aliqopa), du duvelisib (Copiktra) et de l'ombralisib.

**Pic monoclonal IgM (en anglais M-spike) :** Aussi appelé pic monoclonal, protéine monoclonale, ou immunoglobuline monoclonale. Un pic IgM est à tel point caractéristique de la maladie de Waldenström que sa présence est une donnée importante pour le diagnostic de la maladie et le suivi des patients. Cette immunoglobuline monoclonale peut être détectée en utilisant l'électrophorèse des protéines sériques qui permet de séparer les protéines du sang en sous-groupes selon basés sur leur charge électrique et leur taille. On connaît la répartition des protéines et la localisation de chacune d'entre elles lors de leur migration sur la plaque de gel électrophorétique sous l'effet d'un champ électrique. L'ensemble des immunoglobulines d'un individu migrent vers une zone unique appelé région  $\gamma$  (gamma) et, parce qu'elles sont toutes de charge et de taille différentes (chez des patients normaux), elles migrent vers des endroits légèrement différents au sein de cette région. Cela se traduit par une courbe douce en forme de cloche ou une tache (selon que l'on regarde un tracé ou les bandes réelles sur le gel). Dans la MW, l'immunoglobuline IgM produite par les lymphocytes B est monoclonale, de sorte qu'elle migre exactement au même endroit sur le gel. Il en résulte un pic important (si l'on regarde sur le tracé) ou une très forte bande nette et distincte (si l'on regarde sur le gel lui-même). À noter que le pic IgM monoclonal peut migrer dans une autre zone que  $\gamma$ .

**Pirtobrutinib (Loxo 305) :** Un médicament expérimental inhibiteur de la [tyrosine kinase de Bruton](#) (BTK) qui se lie différemment à la BTK que ne le fait l'ibrutinib (Imbruvica), évitant en théorie la résistance observée la mutation BTK-C481S.

**Plages de référence (en anglais Reference ranges) :** En médecine, un ensemble de valeurs utilisées par le médecin pour interpréter les résultats d'un test de biologie médicale, ou d'une analyse, effectué sur un patient. La plage de référence pour un test donné est basée sur les résultats du test obtenus par 95 % de la population en bonne santé. Parfois, des patients dont les résultats du test sont en dehors des valeurs de références peuvent être en bonne santé alors que d'autres patients dont les résultats de test sont à l'intérieur de ces valeurs de références peuvent avoir un problème de santé. La plage de référence pour un test peut être différente selon les groupes de personnes (par exemple, les hommes et les femmes).

**Plasma :** Composant liquide du sang contenant de l'eau, des électrolytes, et diverses protéines.

**Plasmaphérèse (PP) :** Dans la MW, ce processus est utilisé pour éliminer l'excès d'IgM, qui se trouve principalement dans le plasma. Le sang est prélevé en continu et circule au travers d'un appareil qui élimine le plasma. Le sang restant est ensuite renvoyé avec un substitut de plasma. Un cathéter veineux central ou des aiguilles de gros calibre insérées dans les veines (généralement les veines du bras) sont utilisés pour prélever et renvoyer le sang.

**Plaquettes (ou thrombocytes, en anglais Platelet - Plt) :** Cellules formées dans la moelle osseuse à partir des mégacaryocytes eux même issus de cellules souches hématopoïétiques. Les plaquettes circulent dans le sang et sont nécessaires pour aider à la coagulation du sang et contrôler les saignements.

**Polyclonale :** Produit ou composé de cellules différentes. L'immunoglobuline M (IgM) normale est polyclonale car elle est issue de nombreuses cellules B différentes produisant chacune une immunoglobuline (IgM) spécifique et distincte au lieu de l'immunoglobuline monoclonale produite par le clone malin de la macroglobulinémie de Waldenström.

**Ponction de la moelle osseuse :** Le prélèvement par une aiguille de liquide et de cellules de la moelle osseuse pour rechercher des anomalies de la moelle osseuse. L'échantillon est généralement prélevé à l'arrière de l'os de la hanche.

**Post-traduction (NDT, en anglais Post-translational) :** Une modification post-traductionnelle est une modification chimique d'une protéine après sa fabrication (synthèse).

**Prednisolone :** Un corticostéroïde synthétique similaire aux hormones stéroïdes produites naturellement dans la glande surrénale. Il neutralise la réponse immunitaire et réduit l'inflammation. Il peut être utilisé pour traiter une variété d'affections, y compris les maladies auto-immunes et certains cancers ; il peut être indiqué à la place de la prednisone en cas de maladie du foie.

**Prednisone :** un corticostéroïde synthétique similaire aux hormones stéroïdes produites naturellement dans la glande surrénale. Il neutralise la réponse immunitaire et réduit l'inflammation. Il peut être utilisé pour traiter une variété d'affections, y compris les maladies auto-immunes et certains cancers.

**Pronostic :** Une prédiction de l'évolution d'une maladie et de ses conséquences.

**Prophylaxie :** Un traitement pour prévenir les maladies.

**Prospective :** Une étude prospective (parfois appelée étude de cohorte prospective) est un type d'étude de cohorte, ou étude de groupe, dans laquelle les participants sont inscrits dans l'étude avant de développer la maladie ou le résultat escompté. Les études prospectives durent généralement quelques années, certaines (comme la Framingham Heart Study) durent des décennies. Le contraire est une étude [rétrospective](#).

**Protéine de Bence Jones :** La protéine de la chaîne légère d'immunoglobuline détectée dans l'urine de patients atteints de myélome multiple ou de la MW.

**Protéomique :** L'étude de la structure et de la fonction des protéines, y compris la façon dont elles fonctionnent et interagissent avec les autres protéines à l'intérieur des cellules.

**Protocole :** Un plan détaillé d'une expérience, d'un traitement ou d'une procédure médicale.

**Puissance :** Mesure l'activité du médicament. Un médicament anticancéreux plus puissant tue les cellules cancéreuses à une concentration inférieure comparé à un médicament moins puissant.

**Pyrexie :** Fièvre dans le jargon médical.

**Radio-immunothérapie :** Un type de thérapie systémique (injection d'une substance qui voyage par les vaisseaux sanguins) utilisant les rayonnements ionisants. Un anticorps auquel on a associé une substance radioactive est injecté dans le corps. Cette association anticorps/substance radioactive va pouvoir cibler et tuer les cellules tumorales.

**Rate :** Il s'agit de la plus grande structure du système lymphoïde. La rate est un organe comme une glande situé dans l'abdomen supérieur gauche. Il sert de réservoir de sang, produit des lymphocytes et des cellules plasmocytaires et fonctionne comme un "filtre" du sang en enlevant de la circulation sanguine les globules rouges endommagés.

**R-Benda ou Benda-R :** Parfois appelé B-R en anglais. Une abréviation d'une combinaison de traitements de chimio-immunothérapie composée de bendamustine (Treanda ou Bendeka) et de rituximab (Rituxan). Ce traitement est utilisé pour la MW.

**R-CHOP :** Une abréviation d'une combinaison de chimiothérapies utilisée pour traiter des lymphomes. Il comprend les médicaments suivants Rituxan, Cytosan, Hydroxydoxorubicine (aussi connu sous l'appellation Doxorubicine ou Adriamycine), Oncovin (vincristine) et la Prednisone ou Prednisolone. Cette thérapie est également appelée CHOP-R.

**RDC :** Une abréviation d'une combinaison de traitements chimio-immunothérapeutiques composée de rituximab (Rituxan), de dexaméthasone (Decadron) et de cyclophosphamide (Cytosan). Cette combinaison est parfois aussi appelée DRC et est utilisée pour la MW.

**Réaction en chaîne par polymérase (RCP, en anglais PCR pour Polymerase chain reaction) :**

Une technique génétique utilisée pour augmenter des sections sélectionnées d'ADN ou d'ARN à analyser. La RCP est effectuée dans un tube à essai et repose sur des cycles de chauffage et de refroidissement répétés de la réaction pour la fusion et la réplication de l'ADN ou de l'ARN. Les amorces (courts fragments d'ADN ou d'ARN) contenant des séquences complémentaires de la région cible, ainsi qu'une enzyme, sont des composants clés pour permettre une augmentation sélective et répétée (amplification) d'ADN ou d'ARN. Au fur et à mesure que la RCP progresse, l'ADN ou l'ARN généré est lui-même utilisé comme matrice de réplication, déclenchant une réaction en chaîne dans laquelle la matrice d'ADN ou d'ARN est augmentée de manière exponentielle. Les segments amplifiés sont ensuite comparés à des segments nucléotidiques (segment d'ADN ou d'ARN) provenant d'une source connue pour voir si ces derniers sont présents dans l'échantillon du patient. Ce test peut être utilisé pour détecter la mutation MYD88 chez les patients MW.

**Rechute :** Le retour de la maladie après un traitement suivi d'une période de rémission.

**Réfractaire :** Ne répond pas au traitement.

**Régime (en anglais Regimen) :** Un plan qui spécifie la posologie, le calendrier et la durée du traitement.

**Région constante :** La partie d'un anticorps qui détermine sa classe (IgA, IgD, IgE, IgG ou IgM) et se lie aux cellules et complète les protéines du système immunitaire afin de déclencher une réponse immunitaire à un antigène.

**Région variable :** Portion des chaînes lourdes et légères de l'immunoglobuline qui est principalement impliquée dans la liaison antigène/anticorps (immunoglobuline). Un anticorps est en forme de Y, chaque extrémité du "Y" étant composée de portions de chaînes légères et lourdes spécifiques à un antigène particulier. Ceci permet à cet anticorps de se lier spécifiquement à un antigène. En utilisant ce mécanisme de liaison, un anticorps peut marquer un microbe ou une cellule infectée afin de les neutraliser directement ou en faisant appel à d'autres composants du système immunitaire. Au cours du développement des lymphocytes B, cette région d'un anticorps est sujette à de fréquentes mutations génétiques afin de rendre la liaison à l'antigène plus spécifique.

**Réponse :** Une description de la façon et de l'importance avec laquelle un cancer a répondu (réagi) au traitement. Parfois également appelé rémission. Afin de pouvoir comparer les résultats d'essais cliniques entre eux, les chercheurs MW ont normalisé (par des catégories de réponses) les définitions des réponses au traitement :

**Maladie évolutive :**

- augmentation > 25% du taux d'IgM sérique comparativement à son niveau le plus bas
- et / ou progression des signes cliniques attribuables à la maladie.

**Maladie stable :**

- protéine IgM monoclonale détectable
- moins de 25 % de réduction ou moins de 25 % d'augmentation de l'IgM sérique par rapport au niveau de référence (avant traitement)
- pas de progression du gonflement des ganglions lymphatiques et de la rate
- aucun nouveau symptôme ou nouveau signe d'activité de la maladie.

**Réponse complète :**

- absence d'IgM monoclonal sérique (mesurée par immunofixation)
- niveau d'IgM sérique normal
- réduction complète du gonflement des ganglions et de la rate si ce symptôme était présent au départ
- biopsie normale de la moelle osseuse.

**Réponse majeure :** Dans la MW, permet d'évaluer l'efficacité d'un traitement, il s'agit d'un terme faisant référence au nombre cumulé de réponses partielles, de très bonnes réponses partielles et de réponses complètes à un traitement.

**Réponse mineure :**

- protéine monoclonale IgM détectable
- réduction des taux d'IgM sérique > 25% mais < 50 % comparée à la référence (avant traitement)
- aucun nouveau symptôme ou nouveau signe d'activité de la maladie.

### Réponse partielle :

- protéine IgM monoclonale détectable
- réduction des taux d'IgM sérique > 50% mais < 90 % comparée à la référence (avant traitement)
- réduction du gonflement des ganglions lymphatiques et de la rate si ce symptôme était présent au départ
- aucun nouveau symptôme ou nouveau signe d'activité de la maladie.

### Très bonne réponse partielle :

- protéine IgM monoclonale détectable
- réduction des taux d'IgM sérique > 90% comparée à la référence (avant traitement)
- réduction complète du gonflement des ganglions lymphatiques et de la rate si ce symptôme était présent au départ
- aucun nouveau symptôme ou nouveau signe d'activité de la maladie.

**Rétine :** Partie arrière de l'œil, qui reçoit la lumière et transmet les signaux visuels au cerveau. Les vaisseaux sanguins de la rétine peuvent être endommagés chez des patients MW.

**Rétinopathie :** une maladie de la rétine qui entraîne une altération ou une perte de la vision.

**Rétrospective :** Une étude rétrospective se tourne vers le passé en étudiant des données médicales (ex : données enregistrées dans le cadre de l'étude d'une maladie) afin d'identifier les facteurs de risques responsables de ses manifestations, ou à contrario les facteurs de protection contre cette maladie.

Le contraire est une étude [prospective](#).

**Rituximab (Rituxan ou Mabthera) :** Un médicament utilisé pour traiter certains types de lymphomes nonhodgkiniens à cellules B. Il est également utilisé seul ou en association avec d'autres médicaments.

Le Rituximab se lie à une protéine appelée CD20, qui se trouve à la surface des cellules B et contribue ainsi à la destruction des cellules cancéreuses en mobilisant notre système immunitaire. C'est un type de thérapie par anticorps monoclonal. Il peut être administré par perfusion ou par voie sous-cutanée. La formulation sous-cutanée est appelée Rituxan Hycela (voir ci-dessus, [Hycela](#) et [Hyaluronidase](#)).

**Rituximab (Rituxan) d'entretien (en anglais Maintenance rituximab) :** Une série d'injections régulières de Rituximab administrées sur une période de temps (généralement deux ans) pour prolonger la réponse d'un patient à un traitement tout juste terminé contenant du rituximab (Rituxan). Le traitement d'entretien par rituximab est utilisé dans plusieurs types de lymphomes non hodgkiniens à cellules B. En France il n'est pas prescrit car il n'a pas pu être démontré qu'il améliore l'état des patients MW.

**Résistance :** Dans le contexte du cancer, la résistance est la capacité des cellules cancéreuses à se soustraire aux effets de la thérapie médicamenteuse. Les cellules cancéreuses s'opposent à l'action du médicament et continuent de proliférer.

**Séquençage du génome :** Toute méthode ou technologie permettant de déterminer l'ordre de l'ADN trouvé dans les gènes d'un individu. Les méthodes spécifiques comprennent le séquençage de Sanger, le séquençage de nouvelle génération (acronyme anglais NGS), le séquençage de l'exome entier (acronyme anglais WES) et le séquençage du génome entier (acronyme anglais WGS).

**Sélectivité :** La capacité d'un médicament à inhiber sa cible visée tout en préservant les autres molécules du corps (appelée "hors cible"). Par exemple, l'ibrutinib n'a pas une très bonne sélectivité car il inhibe non seulement sa cible, la BTK, mais également d'autres molécules telles que le récepteur du facteur de croissance épidermique (en anglais epidermal growth factor receptor - EGFR). Une inhibition involontaire de l'EGFR entraîne des toxicités (effets secondaires) telles que des éruptions cutanées et de la diarrhée chez certains patients. Souvent, des médicaments de deuxième génération sont développés pour améliorer la sélectivité du médicament d'origine.

**Septicémie** : Un trouble médical grave et aigu, potentiellement mortel, causé par la réponse du corps à une infection. Le corps libère normalement des substances chimiques dans la circulation sanguine pour combattre une infection. La septicémie survient lorsque la réponse du corps à ces substances est déséquilibrée, déclenchant des changements qui peuvent endommager plusieurs systèmes organiques. Si la septicémie évolue vers un choc septique, la pression artérielle diminue considérablement, ce qui peut entraîner la mort.

**Signe(s)** : En médecine, la (les) manifestation(s) objective(s) d'un trouble médical ou d'une pathologie. Des exemples de ces signes cliniques peuvent inclure la fièvre, l'hypertension artérielle et le pouls rapide.

**Souris transgénique** : Une souris génétiquement modifiée, dans laquelle des gènes spécifiques ont été modifiés : supprimés (en anglais "knock-out ") ou ajoutés (en anglais "knock-in") pour permettre l'étude du rôle de gènes spécifiques.

**Sous-cutané abréviation SC (ou Sub-Q en anglais)** : Sous la peau.

**Splénectomie** : Ablation chirurgicale de la rate.

**Splénomégalie** : Agrandissement de la rate.

**Stroma** : Tous les éléments au sein d'une tumeur, autres que les cellules tumorales, qui aident à sa survie et permettent à la tumeur de se développer. Dans les tumeurs de la moelle osseuse telles que la MW, le stroma comprend des vaisseaux sanguins, des fibroblastes, des nerfs et d'autres types de cellules. Certains scientifiques étudient des traitements médicamenteux pour empêcher les cellules stromales de favoriser la croissance tumorale.

**Subclinique** : Anomalies ou processus pathologiques mineurs ne provoquant ni signes ni symptômes cliniques. Voir aussi "[Asymptomatique](#)".

**Sueurs nocturnes** : L'apparition de transpiration excessive pendant le sommeil.

**Surveiller et Attendre (en anglais W&W pour Watch and Wait)** : Un terme souvent utilisé avec des cancers indolents (à évolution lente) et signifie que le médecin ne traite pas systématiquement un patient, mais plutôt surveille la maladie. Cela est recommandé car le traitement des patients asymptomatiques n'améliore pas leur qualité de vie, ne guérit pas la maladie ni ne change son évolution. De plus de nombreux traitements ont des effets secondaires indésirables. La méthode de surveiller et attendre est habituellement utilisée pour s'assurer que le traitement n'est commencé que lorsqu'il est nécessaire de soulager les symptômes et améliorer la qualité de vie. Pendant cette période, il est pratiqué des tests médicaux réguliers pour déterminer l'état de la maladie.

**Survie globale (en anglais Overall survival)** : La proportion (%) d'une population de patients en cours de suivi ou de traitement encore vivants au-delà d'une période de temps après qu'ils aient été diagnostiqués pour une maladie, telle que le cancer, ou débuté un traitement.

Dans un essai clinique, mesurer la survie globale est un moyen de mesurer l'efficacité du traitement.

**Survie sans événement (acronyme anglais EFS pour event free survival)** : Le pourcentage de patients qui ne présentent pas de complications après un traitement destiné à prévenir ou à retarder ces complications.

**Survie sans progression (en anglais Progression-free survival - PFS)** : La période de temps pendant laquelle un patient en cours de suivi ou de traitement pour une maladie telle que le cancer vit avec celle-ci sans qu'elle n'empire. Dans un essai clinique, la mesure de la survie sans progression est une façon d'évaluer l'efficacité d'un traitement.

**Symptôme :** Une indication subjective d'un état ou d'une maladie, généralement ressentie par le patient. Par exemple fatigue, douleur ou étourdissements.

**Symptôme constitutionnel :** Fait partie d'un groupe de symptômes pouvant affecter de nombreuses parties différentes du corps. Les exemples incluent la perte de poids, les fièvres, la fatigue, les frissons, les sueurs nocturnes et la perte d'appétit. En général, ils sont non spécifiques, communs à un grand nombre de maladies et d'affections comme causes potentielles, nécessitant ainsi une évaluation plus approfondie pour tout diagnostic. Parfois appelés symptômes des cellules B, car ils sont fréquents dans les lymphomes à cellules B.

**Syncope :** Évanouissement, généralement lié à une diminution du flux sanguin vers le cerveau. Elle survient le plus souvent lorsque la pression artérielle est trop basse (hypotension).

**Syndrome de Bing-Neel (acronyme anglais BNS) :** Une maladie rare qui implique une infiltration du système nerveux central (cerveau et moelle épinière) par les cellules MW, provoquant une variété de symptômes neurologiques.

**Syndrome de libération de cytokines (acronyme anglais CRS) :** Un effet secondaire pouvant survenir après un traitement avec certains types d'immunothérapies, comme le rituximab, d'autres anticorps monoclonaux et les cellules CAR-T. Le syndrome de libération de cytokines est causé par une libération importante et rapide de cytokines dans le sang à partir des cellules immunitaires affectées par l'immunothérapie. Les signes et les symptômes du syndrome de libération des cytokines sont la fièvre, les nausées, les maux de tête, les éruptions cutanées, les battements cardiaques rapides, l'hypotension artérielle et les difficultés respiratoires. La plupart des patients ont une réaction bénigne, mais parfois, la réaction peut être mortelle.

**Syndrome de lyse tumorale (acronyme anglais TLS) :** Un effet secondaire qui se produit lorsqu'un grand nombre de cellules cancéreuses meurent en peu de temps, libérant leur contenu dans le sang. Ce syndrome peut être un effet secondaire du traitement par vénétoclax.

**Syndrome d'hyperviscosité (HVS en anglais) :** Un groupe de symptômes déclenchés par une augmentation de la viscosité du sang. Ceux-ci comprennent des saignements spontanés des muqueuses, des troubles visuels et des symptômes neurologiques allant des maux de tête, des étourdissements et des vertiges et des convulsions et le coma.

**Système immunitaire :** Le système qui protège un organisme contre une grande variété d'agressions ou d'agents infectieux (agents pathogènes), y compris les virus, les bactéries et les parasites, et peut les distinguer des propres tissus et processus sains de l'organisme. Il existe deux sous-systèmes majeurs du système immunitaire, appelés inné et adaptatif. Le système immunitaire inné fournit une réponse immédiate mais non spécifique. Il s'agit de barrières physiques et chimiques, telles que la peau, le mucus et les larmes. Ce sont des globules blancs spécialisés tels que les [neutrophiles](#), les basophiles, les [éosinophiles](#), les [macrophages](#) et les [cellules tueuses naturelles](#) ainsi que le système complémentaire de protéines qui neutralisent les agents pathogènes. Le système immunitaire adaptatif entre en jeu si les agents pathogènes réussissent à échapper à la réponse innée. Le système immunitaire adaptatif se compose principalement des lymphocytes B et T et des immunoglobulines (anticorps), qui sont très spécifiques et ciblées sur le pathogène responsable de la maladie. Le système immunitaire adaptatif peut "se souvenir" des agents pathogènes auxquels il a déjà été exposé et peut développer une forte réponse immunitaire s'il est à nouveau exposé.

**Système lymphatique :** Un système organique qui comprend la moelle osseuse, la rate, le thymus, les ganglions lymphatiques et les vaisseaux qui transportent la lymphe.

**Tête à tête :** Un essai clinique conçu pour comparer deux médicaments. Habituellement, un essai en tête-à-tête compare un nouveau médicament expérimental au médicament standard de soins existant. Pour éviter tout biais, les patients sont généralement assignés au hasard pour recevoir soit le médicament expérimental, soit le médicament standard de soins. Les groupes sont en outre triés ou "stratifiés" afin que les paramètres clés (tels que l'âge ou la gravité de la maladie) soient similaires entre les deux groupes.

**Thérapie à cellules CAR-T :** Un nouveau type d'immunothérapie prometteur qui est utilisé avec un certain succès contre certaines tumeurs solides telles que le mélanome et les cancers du sang tels que la leucémie, le lymphome et le myélome multiple. Les lymphocytes T sont prélevés sur un patient par aphérèse (un processus similaire à la plasmaphérèse). Ils sont envoyés dans un laboratoire où ils sont génétiquement modifiés pour produire des récepteurs antigéniques chimériques (en anglais chimeric antigen receptors - CAR) à leur surface. Les CAR sont des protéines qui permettent aux lymphocytes T de reconnaître un antigène sur les cellules tumorales du patient. Les lymphocytes T modifiés sont connus sous le nom de lymphocytes CAR-T. Le nombre de cellules CAR-T est augmenté en les faisant croître en laboratoire par millions, après quoi elles sont réintroduites dans la circulation sanguine du patient, généralement après une brève chimiothérapie. Les CAR sur la surface des cellules T reconnaissent les cellules tumorales dans le corps du patient et les attaquent. Ils peuvent rester dans le corps longtemps après la fin de la perfusion et peuvent prémunir contre la récurrence du cancer, entraînant fréquemment des rémissions à long terme.

**Thérapie combinée :** Un traitement qui utilise plus d'un médicament.

**Thérapie de première ligne :** Le premier traitement d'une maladie. Aussi appelé traitement de première intention (parfois abrégé IL) ou traitement initial.

**Thérapie de sauvetage :** Tout traitement administré après l'échec du traitement de première ligne.

**Thérapie par anticorps monoclonal (en anglais Monoclonal antibody therapy – MAB therapy) :** Utilisation d'anticorps développés en laboratoire qui peuvent localiser des antigènes dans le corps, y compris des cellules tumorales et s'y lier. Chaque anticorps monoclonal est fait pour se lier à un antigène spécifique. Ils peuvent être utilisés seuls, pour transporter des médicaments, des toxines, ou des matières radioactives directement vers une tumeur.

**Thrombocytopénie :** Un nombre anormalement bas de plaquettes.

**Tirabrutinib :** Médicament expérimental oral qui cible et inhibe la [tyrosine kinase de Bruton](#) (BTK), une enzyme qui joue un rôle important dans le développement et l'activation des cellules B et qui est souvent suractivée dans la MW. Il appartient à la même classe de médicaments que l'ibrutinib (Imbruvica), mais il s'agit d'un médicament de deuxième génération. Il est étudié dans le cadre d'essais cliniques pour la MW.

**Tomographie par émission de positrons (TEP) (en anglais PET scan pour Positron emission tomography scanner) :**

Plus récemment appelé "imagerie moléculaire", il s'agit d'une méthode unique d'imagerie médicale mettant en œuvre la technologie de la médecine nucléaire pour l'obtention des images en trois dimensions des processus fonctionnels du corps. Cette technique permet aux médecins de visualiser certains processus chimiques au sein des organes et des tissus et d'en mesurer l'activité.

**Toxicité :** Relatif à du poison ou quelque chose de nocif pour le corps. La toxicité fait souvent référence à des effets indésirables d'un médicament.

**Traduction :** Processus par lequel une cellule synthétise des protéines après le processus de transcription de l'ADN en ARN messager.

**Transcription :** Au sein de la cellule, la première étape de l'expression génique, ou expression d'un gène, dans laquelle un segment particulier d'ADN est copié en ARN messager. L'ARN messager va à son tour servir de matrice pour la synthèse de la protéine.

**Transcriptomique :** L'étude de tous les transcrits d'ARN (appelés collectivement le transcriptome) présents dans une cellule. Contrairement au génome d'une cellule contenant la totalité du matériel génétique de la cellule, qui ne varie généralement pas sauf mutation, le transcriptome, qui représente uniquement la partie exprimée du génome, peut varier en fonction des conditions environnementales et peut donc être étudié pour fournir un instantané du fonctionnement interne d'une cellule à un moment donné.

**Transformation :** Processus par lequel un lymphome indolent évolue en un lymphome plus agressif. Les lymphomes indolents se développent généralement lentement et peuvent rester stables pendant longtemps. Cependant, en raison de mutations acquises supplémentaires, un type de cellule plus agressif peut émerger de la population de cellules indolentes (et dépasser en nombre celles-ci rapidement), entraînant des symptômes et la nécessité de traiter. Lorsqu'un lymphome indolent se transforme, il y aura un mélange de cellules indolentes et agressives, et le but de la thérapie est de guérir la composante agressive. Après un traitement réussi, le lymphome indolent peut persister. Dans la MW, une préoccupation est la transformation des cellules MW en un cancer plus agressif appelé lymphome B diffus à grandes cellules (en anglais diffuse large B cell lymphoma – DLBCL).

**Très bonne réponse partielle :** Ce terme est utilisé pour indiquer que le corps a très bien réagi au traitement produisant une réduction importante des symptômes liés à la MW (voir [Réponse](#)).

**Tyrosine kinase de Bruton (en anglais Bruton's tyrosine kinase - BTK) :** Une enzyme importante dans le développement et l'activation des cellules B. Elle est souvent excessivement activée chez les patients atteints de la MW et est ciblée par des inhibiteurs de la BTK tels que l'ibrutinib (Imbruvica), l'acalabrutinib (Calquence) et le zanubrutinib (Brukinsa).

**Ubiquitine :** Type de petite protéine qui vient se fixer à d'autres protéines après leur fabrication (voir [post-traduction](#)). Certaines ubiquitines marquent leur protéine cible pour qu'elle soit éliminée. Cela régule la durée de vie des protéines. Certains médicaments anticancéreux utilisent ce mécanisme pour être dirigés vers des cibles spécifiques. Néanmoins, d'autres types d'ubiquitines peuvent augmenter la quantité de cellules cancéreuses. Afin de contourner ce problème, des recherches portent actuellement sur des traitements susceptibles de bloquer ce type d'ubiquitine.

**Ulocuplumab :** Un anticorps monoclonal qui cible CXCR4 (récepteur de chimiokine C-X-C de type 4). Il est utilisé dans des essais cliniques sur la MW.

**Vaccin idiotypique :** Un vaccin anticancéreux fabriqué à partir d'anticorps dirigés contre la partie singulière des cellules cancéreuses propres à chaque patient. La procédure consiste généralement en une injection sous-cutanée mensuelle du vaccin. Après 5 ou 6 doses mensuelles, des augmentations supplémentaires tous les 2-3 mois deviennent de plus en plus populaires et recommandées. Ce type de traitement a été utilisé pour traiter un type de lymphome à cellules B appelé lymphome folliculaire et est à l'étude dans la MW. Remarque : contrairement aux vaccins contre les maladies infectieuses, les vaccins anticancéreux ne sont pas administrés à la population générale pour prévenir le cancer, ils sont utilisés pour traiter les patients déjà diagnostiqués avec un cancer. Ce n'est pas un vaccin "sur étagère" et doit être personnalisé pour chaque patient atteint de cancer.

**Venetoclax (Venclexta ou Venclyxto)** : Un médicament oral qui bloque un mécanisme de survie des cellules cancéreuses. Il cible et inhibe la protéine BCL2 (en anglais BCL2 pour B-cell lymphoma 2), une protéine importante pour la survie cellulaire, surexprimée dans plusieurs types de cancers. Venetoclax est utilisé pour traiter la Leucémie Lymphoïde Chronique (LLC) une autre hémopathie à lymphocyte B voisine de la WM. Ce médicament est en cours d'essais cliniques pour la MW.

**Viscosité du sérum (VS)** : Propriété physique du sérum qui est "épais" et a du mal à s'écouler (contraire de fluide). La viscosité du sérum est affectée par la concentration des constituants dans le sérum. Plus grand sera le nombre de molécules solubles dans le sérum, plus élevée sera la viscosité.  
Dans la MW, la présence d'une grande quantité d'IgM peut entraîner une viscosité élevée du sérum.

**Xénogreffe** : Une procédure expérimentale dans laquelle des cellules tumorales, en général humaines, sont introduites sous la peau d'une souris pour les faire proliférer. La souris est alors soumise à un traitement médicamenteux pour en évaluer sa capacité à contrôler la tumeur.

**Zanubrutinib (Brukinsa)** : En cours d'évaluation pour MW, ce médicament à prendre oralement bloque le mécanisme de création en excès des lymphocyte B tumoraux (malins). Ce pourrait-être le successeur de l'Ibrutinib, son mode d'action plus ciblée induit moins d'effets secondaires. Un médicament oral qui supprime l'expression de la [tyrosine kinase de Bruton](#) (NDT, en anglais Bruton's tyrosine kinase - BTK), une enzyme importante dans le développement et l'activation des lymphocytes B. Elle est surexprimée dans la maladie de Waldenström. Zanubrutinib est de la même famille que l'Ibrutinib (Imbruvica) mais de deuxième génération. Il a été établi qu'il cible l'enzyme BTK de façon plus sélective, et provoque moins d'effets secondaires. Il a reçu l'approbation de la FDA pour le lymphome du manteau (en anglais mantle cell lymphoma) et a fait l'objet d'essais cliniques pour la maladie de Waldenström.

**Zona (herpès zoster)** : maladie causée par la réactivation du virus varicelle-zona chez une personne qui l'a déjà eu. Le zona affecte généralement une petite partie ou un côté du corps. Ses symptômes comprennent des douleurs, des brûlures ou des picotements, une sensibilité au toucher, une éruption cutanée rouge qui commence quelques jours après la douleur, des démangeaisons et des cloques remplies de liquide qui s'ouvrent et se couvrent de croûte.

Jusqu'à récemment, le vaccin utilisé pour protéger contre le zona n'était pas indiqué pour les patients MW car il s'agit d'un vaccin à virus vivant. Un nouveau vaccin appelé Shingrix (un vaccin à virus non vivant), a récemment été approuvé par la FDA pour les personnes de plus de 50 ans. Il est considéré comme sûr pour les patients MW.





International Waldenstrom's  
Macroglobulinemia Foundation

---

6144 Clark Center Avenue, Sarasota, FL 34238

Téléphone: 941-927-4963

International: 001-941-927-4963

[iwmf.com](http://iwmf.com)