

Évaluation de la transition de la pédiatrie à la médecine adulte chez les patients atteints de bêta-thalassémie dépendante des transfusions

Sarah Szepetowski

Service d'hématologie, immunologie et oncologie pédiatrique

Centre de référence des Syndromes Drépanocytaires Majeurs, Thalassémies et Autres pathologies rares du globule rouge et de l'Erythropoïèse

CHU La Timone, Marseille



Contexte

- Maladies chroniques rares en France
 - *registre national NaThalY = 844 patients (479 TDT et 365 NTDT)
- Amélioration de la prise en charge
 - *amélioration espérance de vie
- Période de transition difficile dans les maladies chroniques
 - *période de l'adolescence
 - *place des parents
 - *changement d'équipe
- Principal risque = rupture continuité des soins
 - *moins maîtrise de la maladie
 - *moins bonne observance
 - *complications (surcharge en fer ++), décès
- Peu d'études sur le sujet



Objectifs

- Décrire la transition en elle-même
 - *caractéristiques des patients à la transition
 - *procédures mises en place pour encadrer la transition
- Décrire les prises en charge avant/après transition
 - *évolution des rythmes de surveillance
 - *paramètres de surcharge en fer
 - *autres complications
 - *modifications thérapeutiques
- Identifier les facteurs influençant l'âge à la transition et les marqueurs de surcharge en fer



Patients et Méthodes

- Critères d'inclusion
 - *patients inclus dans le registre national NaThalY
 - *atteints de bêta thalassémie intermédiaire ou majeure dépendante des transfusions non greffés ou en échec de greffe
 - *âgés de 20 à 25 ans
 - *nés en France ou pris en charge en France avant 15 ans
- Données collectées issues du registre
 - *caractéristiques des centres : consultations transition, séances ETP
 - *caractéristiques des patients : âge actuel, âge à la transition, sexe, né en France ou âge d'arrivée en France, fratrie malade, durée de suivi total dans les centres pédiatrique et adulte, statut vital
 - *questionnaire pour enquête auprès des médecins référents (10 questions)
- Période d'étude : 2 avant et 2 après transition



Avancée du Projet et Perspectives

- 60 patients répondant aux critères d'inclusion inclus dans le registre NaThalY
- Issus de 30 centres différents
- Déclaration de l'étude sur le PADS AP-HM
 - *mise en conformité selon la méthodologie MR 004 en cours
- Diffusion du questionnaire auprès des centres identifiés
- Analyse des données
- Et après ?
 - *étude prospective vécu/ressenti du patient, questionnaires qualité de vie avant/après transition



MERCI !

