

Argumentaire en faveur de la Greffe Pédiatrique



« Guérir, c'est possible ! »

Françoise BERNAUDIN

francoise.bernaudin@chicreteil.fr

Site: **drepagreff.fr**

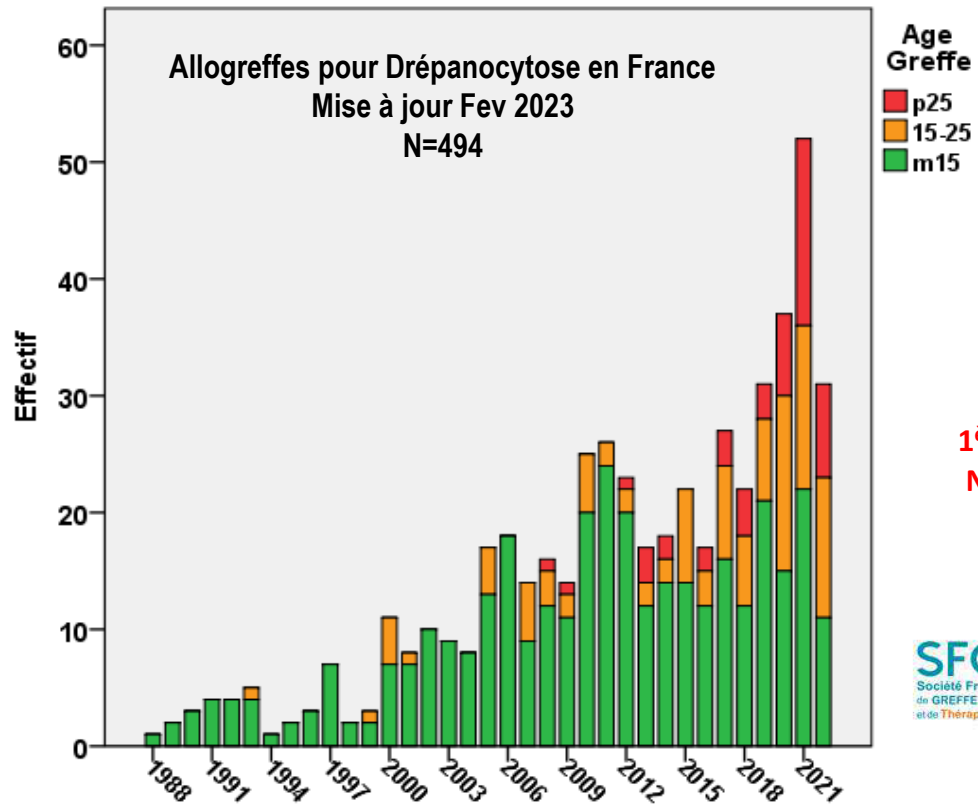


FILIÈRE SANTÉ MALADIES RARES

Journée du 6 Octobre 2023

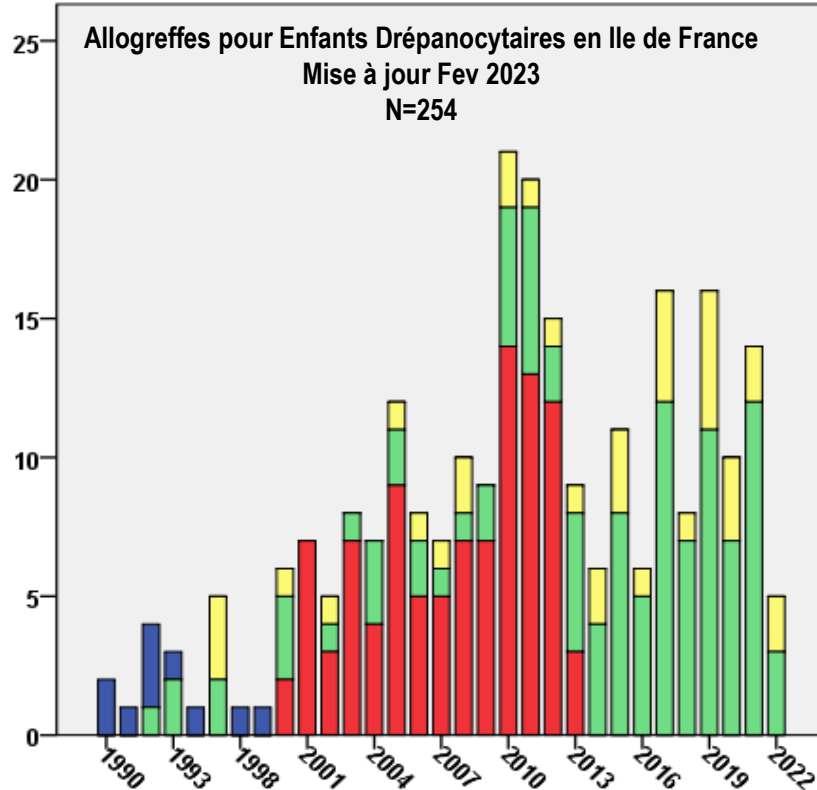
Greffe pour Drépanocytose en France

- Depuis 1988
 - 500 patients allogreffés
 - **augmentation** importante des patients **adultes** depuis le conditionnement non myéloablatif
 - **stagnation** du nombre d'enfants greffés



Greffe pédiatrique en Ile de France

- Stagnation du nombre d'enfants greffés **particulièrement en Ile de France**
- **Fermeture des lits pédiatriques à St-Louis**
 - Insuffisamment compensé par les centres de Debré et Necker
 - Manque infirmières
 - "concurrence" avec autres patients urgents: LA, aplasies, déficits immunitaires



Greffes pour Enfants drépanocytaires réalisées en IDF

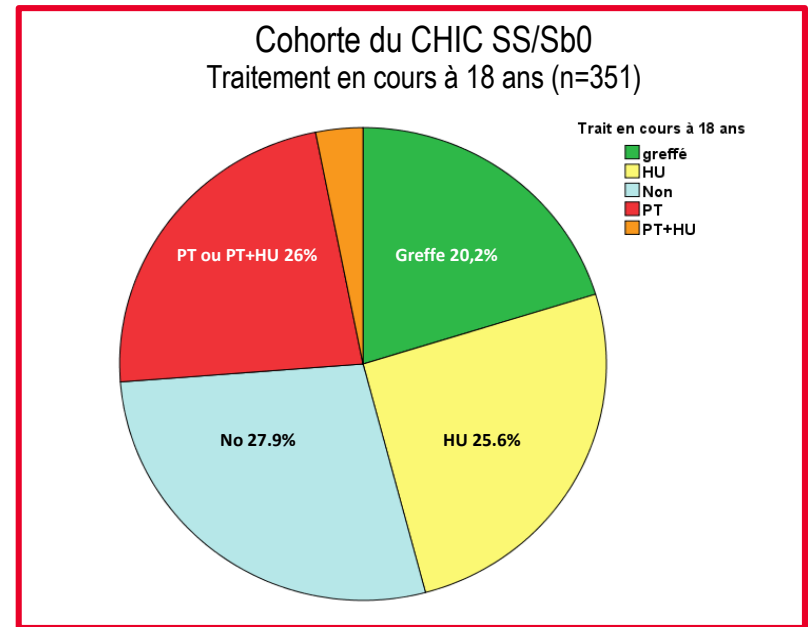
- Creteil
- Necker
- Debré
- StLouis

Exemple du CHIC

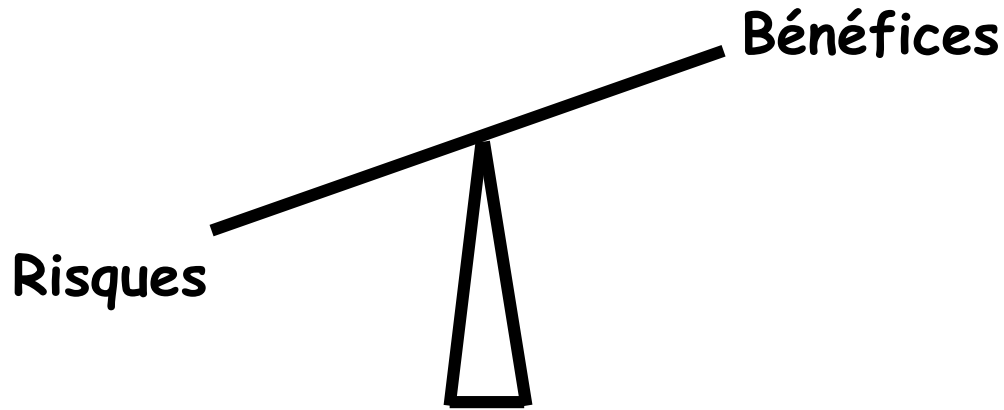
- 159 patients SS/Sb0 allogreffés
- A l'âge de 18 ans **20% des patients SS/Sb0 suivis au CHIC ont été greffés**
- Mais **28% parmi ceux ayant nécessité intensification par HU ou Prog Transfu**

Combien d'enfants à greffer par an en France ?

- 600 SDM dépistés/an dont environ **430 enfants SS/Sb0**
- Avec estimation de 20% ayant donneur HLA-identique et indication de greffe
- **86 greffes allogéniques pédiatriques pour drépanocytose à faire /an en France vs 10 à 20 actuellement**



Risques et bénéfices doivent être pesés



Mortalité
GvH chronique
Infertilité

Qualité de vie
Absence de crises
Correction anémie
Préservation cérébrale
Prévention défaillance
d'organe
Préservation fertilité
possible

• Mortalité <18 ans

- 1988-2005
- 2005-2012

Greffe

6.0%
1.4%

Haematologica 2020
Volume 105(1):91-101

Drépanocytose

6,4% *Quinn Blood 2004*

2.5% *Bernaudin Blood 2011*

Décision partagée médecin, soignants, parents, enfant

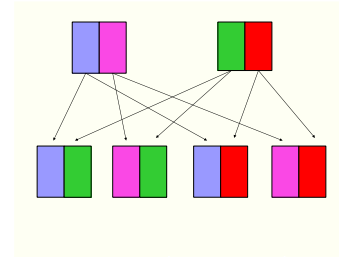
Chances d'avoir un donneur HLA identique dans la fratrie?

- **Chaque parent transmet 1 Haplotype**

- A, B, C, DR, DQ (chromosome 6)

- **Probabilité donneur HLA= dans une fratrie**

- 1 chance/4 (25%) que frère ou soeur soit HLA identique
- Mais chances augmentent avec le nombre de frères soeurs non drépanocytaires (AA ou AS)



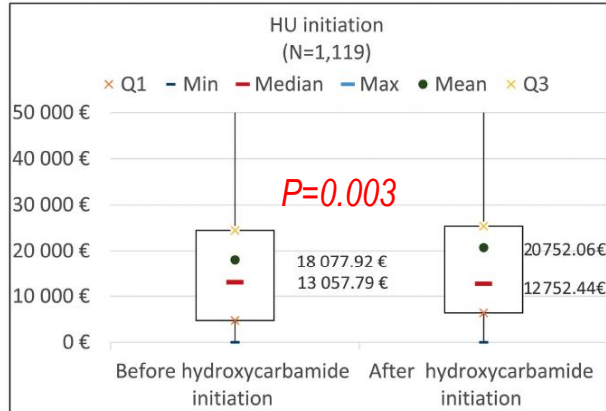
1	2	3	4
25%	44%	58%	68%

- **Comment augmenter les chances de pouvoir recourir à la greffe de l'enfant drépanocytaire ?**

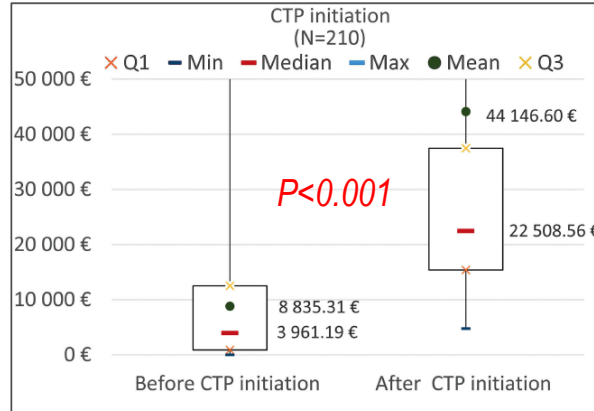
- Eviter la naissance d'un nouvel enfant malade
- Prévenir dès début grossesse suivante: **ponction trophoblastique** → IVG précoce
- **Diagnostic préimplantatoire (DPI):** permet d'éviter naissance d'enfants SS sans nécessiter recours à IVG
- **Double DPI HLA-maladie:** de nouveau possible en France mais l'évoquer tôt avec les parents (limité d'âge mère)

Coût de la Greffe et des traitements par HU et Prog Transfu

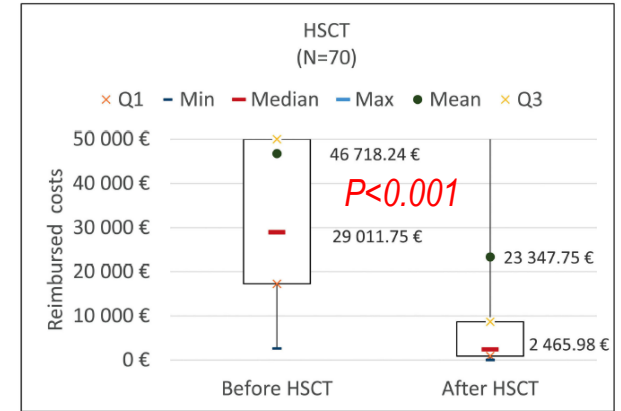
Hydroxyurea



Chronic Transfusion



HSCT > 1 year



- Etude base **SNDS (2012-2018)** menée par “Steve consultants” à la demande de BlueBirdBio
- **Coût annuel median** durant les **3 années avant trait** vs **3 années après**
- **HU** €13,058 vs €12,752, **CT** €4,643 vs €22,716 **HSCT** €29,012 vs €2,466
- Investigateurs V Brousse, F Bernaudin, A Habibi [Haematologica | 108 September 2023](#)

Pourquoi privilégier l'allogreffe à l'âge pédiatrique ?

- **Moins de risqué de GVH** avec les conditionnements myéloablatifs
- **Accompagnement par les parents**
- Limite le cercle vicieux **douleurs → addiction → difficultés sociales**
- Préservation des fonctions cérébrales → **meilleure scolarité et insertion socio-professionnelle**
- Intervenir **avant l'apparition des mutations décrites dans la drépanocytose**
- A ce jour **aucun cas de LA secondaire** après allogreffe myeloablative dans la série française
- En fait adapter les traitements à la sévérité de la maladie +++
- Préservation de la fonction splénique
- DTC pathos, lésions IRM, CVO/STA malgré HU, osténécroses, microalbuminurie

Merci !!

- **Collègues**
 - Centres de Référence de la Drépanocytose
 - Unités de Greffe
- **Familles et Enfants**
- **Merci pour votre attention**



Good bye to the disease !!