

Argumentaire en faveur de la Greffe Pédiatrique



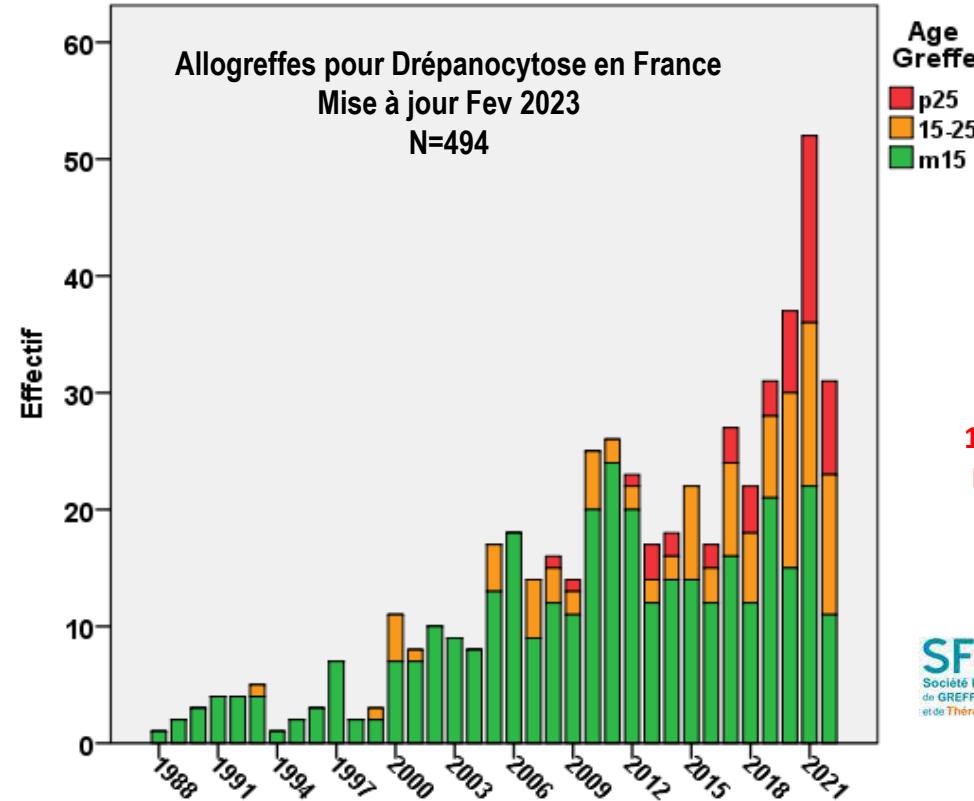
FILIÈRE SANTÉ MALADIES RARES

Françoise BERNAUDIN
francoise.bernaudin@chicreteil.fr
Site: **drepagreff'e.fr**

Journée du 6 Octobre 2023

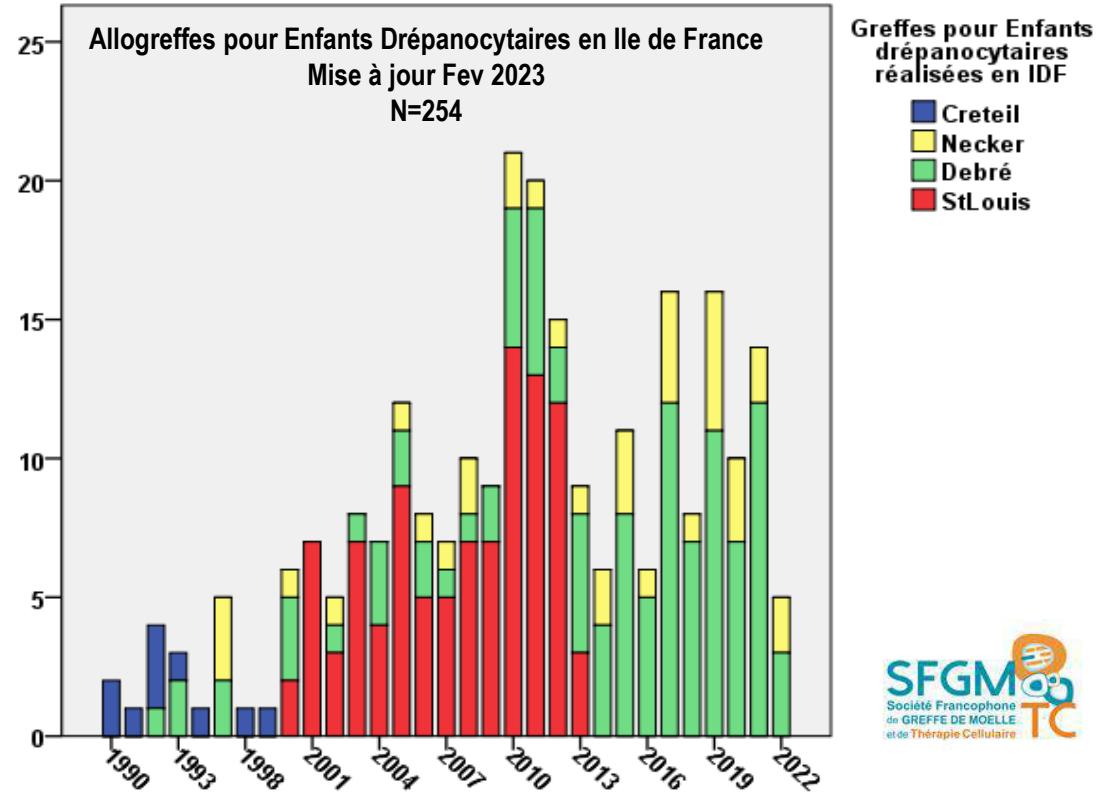
Greffé pour Drépanocytose en France

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



Greffé 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

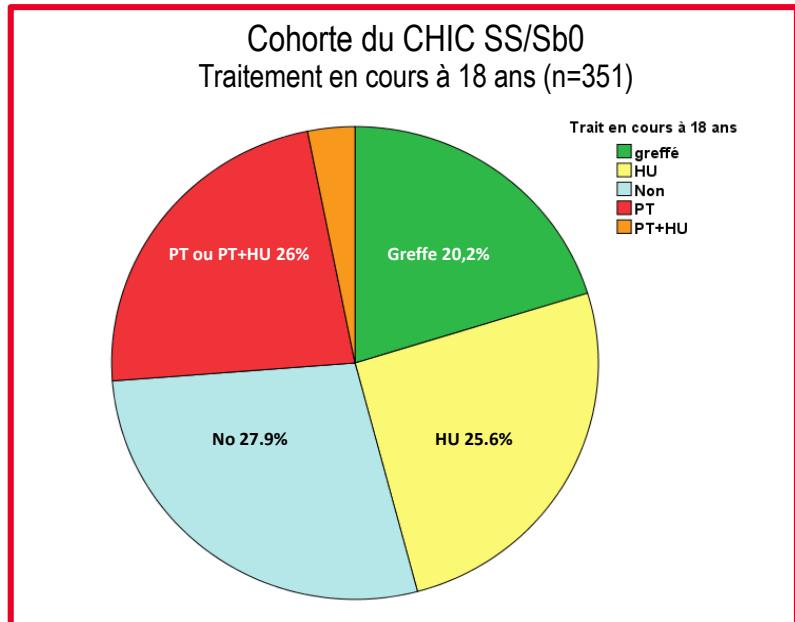


Exemple du CHIC

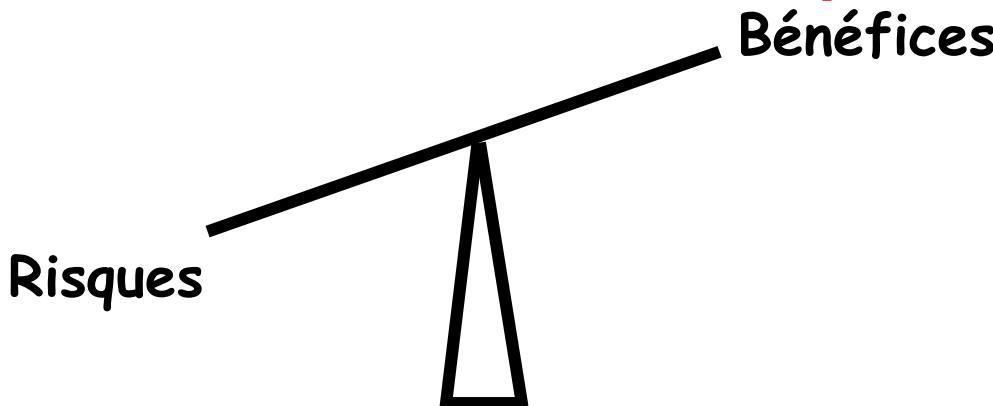
- 159 patients SS/Sb0 allogreffiés
- A l'âge de 18 ans **20% des patients SS/Sb0 suivis au CHIC ont été greffés**
- Mais **28%** parmi ceux ayant nécessité intensification par HU ou Prog Transfu

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

Greffé
6.0% *Haematologica* 2020
1.4% Volume 105(1):91-101

Drépanocytose
6,4% *Quinn Blood 2004*
2.5% *Bernaudin Blood 2011*

Décision partagée médecin, soignants, parents, enfant

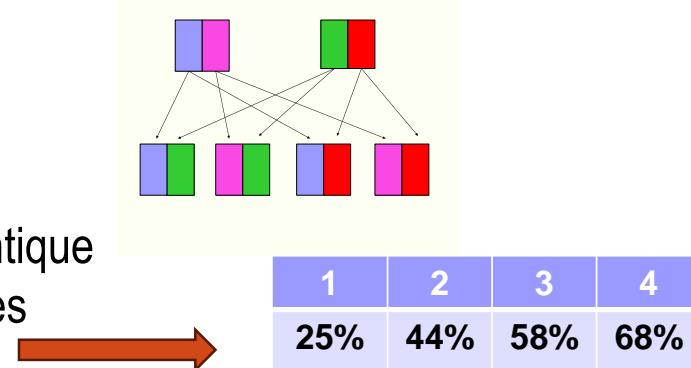
Chances d'avoir un donneur HLA identique dans la fratrie?

- 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)

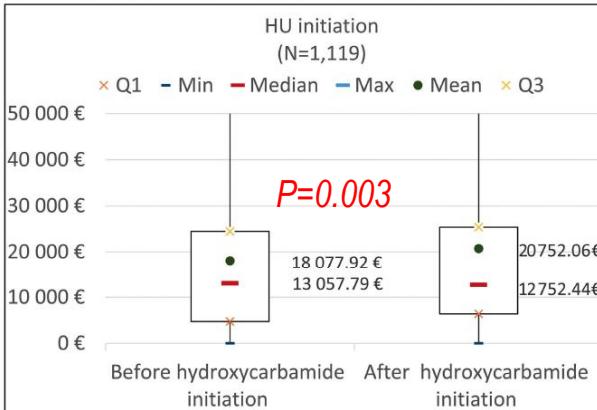


- Comment augmenter les chances de pouvoir recourir à la greffe de l'enfant drépanocytaire ?

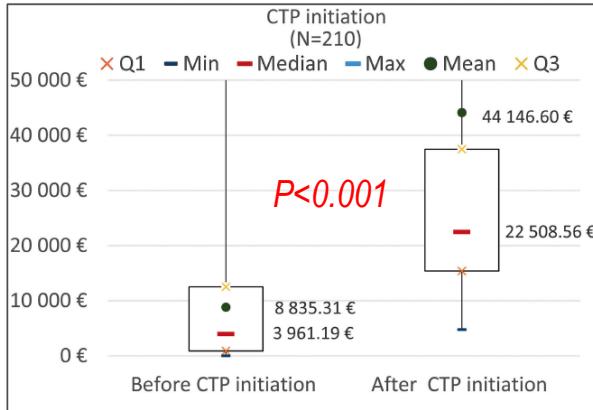
- Eviter la naissance d'un nouvel enfant malade
 - Prévenir dès début grossesse suivante: **ponction trophoblastique** → IVG précoce
 - **Diagnostic préimplantatoire (DPI)**: permet d'éviter naissance d'enfants SS sans nécessiter recours à IVG
 - **Double DPI HLA-maladie**: de nouveau possible en France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

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

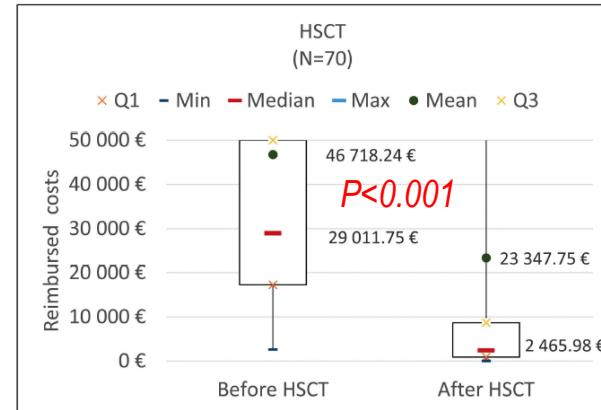
Hydroxyurea



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, lesions 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 !!