

Cohortes prospectives néonatale hémoglobinopathie CohoDrep & Coho Thal

22^e journée de la Filière FilRougE-MCGRE
3 juillet 2026

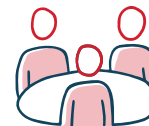
Cohodrep & Cohothal – Rationnel

- 2025: Absence de données nationales prospective néonatale
- Organisation nationale du dépistage néonatal systématique (drépanocytose)
- Données de surveillance très informatives (Ex. Etude Evadrep)
 - Écarts aux recommandations: Couverture DTC/ Antibioprophylaxie / vaccination
 - Mortalité/ morbidité
- Bamara: Données minimales déjà collectées : identité, diagnostic
- Possibilité de croiser les données Bamara et rapport d'analyses du dépistage néonatal

Cohodrep & Cohothal – Objectifs

- Objectifs: Suivi prospectif longitudinal sur 5 ans de la cohorte de nouveaux nés dépistés
 - Drépanocytaires: Cohodrep
 - Thalassémiques : Cohothal
- COPIL
 - CohoDrep : Marica Rossi (Robert Debré), Valentine Brousse et Marie-Hélène Odièvre (GT DNN)
 - CohoThal : Audrey Benoît (Marseille), Sarah Szeppetowski (GT DNN)
 - Filière FilRougE-MCGRE : Catherine Pouzat
 - BNDMR
- Comité utilisateurs

Cohodrep & Cohothal- ce qui a été fait



Cohodrep & Cohothal- prochaines étapes

Septembre 2026

Validation des variables

Janvier 2027

Début des inclusions ?

Dec 2026

Organisation de la saisie

Financement Européen?

NaThalY



Registre NaThalY ≈
900 patients
symptomatiques

2/3 nés en France

≈ 15 naissances de
forme sévère/an

Quels items ?



- Données de base

Date 1^{ère} consultation et date confirmation biologique
Méthode de confirmation
Génotype

- Données longitudinales : dates anniversaires 1-2-3-4-5 ans

ATCD de transfusion – si oui, date et Hb pré-transfusionnelle
Programme transfusionnel – si oui, date début et Hb à l'initiation
Chélation : 1^{er} traitement et dose, ferritine à l'initiation
1^{ère} IRM réalisée – si oui, date et résultats

Splénectomie, allogreffe, HU
Décès, comorbidité
Allo-immunisation, DHTR

Quels items ?



- Données longitudinales : dates anniversaires 1-2-3-4-5 ans

Patient toujours suivi dans le centre – si non, quel centre/retour pays/perdu de vue
Poids, taille, splénomégalie

Moyenne des Hb pré-transfusionnelles de l'année
Apports transfusionnels annuels
Nombre de séances transfusionnelles dans l'année

Moyenne des ferritinémies de l'année
1^{er} chélateur prescrit toujours en cours – si non, quel 2^{ème} chélateur et motif changement
2^{ème} chélateur prescrit toujours en cours – si non, quel 3^{ème} chélateur et motif changement

...

Conclusion

- CohoThal permettra de disposer pour la première fois en France de données prospectives harmonisées sur les premières années de vie de TOUS les enfants atteints de bêta-thalassémie sévère
- Collaboration nationale mais peu de moyens supplémentaires nécessaires pour les centres par rapport au registre
- Mieux évaluer nos pratiques actuelles et les innovations thérapeutiques à venir

Merci