

**4^{ème} REUNION D'HEMATO-ONCOLOGIE PEDIATRIQUE
du C.H.R. de la Citadelle**

**Les anémies falciformes :
dépistage et nouveautés thérapeutiques**

Samedi 14 JUIN 2003
Hôtel Bedford - Liège

8 h 30

ACCUEIL

Modérateur : Dr B. GULBIS (Hôpital Erasme)

9 h 00

Diagnostic préimplantatoire et prénatal
Dr V. BOURS (C.H.U. du Sart-Tilman)

Dépistage néonatal

Dr E. RONGE-COLLARD (C.H.R. de la Citadelle)

Réflexions éthiques sur la notion de dépistage

Dr M. de MONTALEMBERT (Hôpital Necker - Paris)

Prophylaxie infectieuse

Pr Ph. LEPAGE (C.H.R. de la Citadelle)

10 h 30

PAUSE

11 h 00

Intérêt du doppler transcranien

Dr P. JAMBLIN (C.H.R. de la Citadelle)

Hydrea ® versus greffe de moelle osseuse

Dr M.F. DRESSE (C.H.R. de la Citadelle)

Un chelateur par voie orale : mythe ou réalité ?

Dr Y. BEGUIN (C.H.U. du Sart-Tilman)

**Présentation du centre de la drépanocytose de
l'hôpital Sainte-Justine de Montréal**

Mme N. FOURNIER, infirmière (Montréal)

La drépanocytose vécue au quotidien

Dr D. N'GAY (Action drépanocytose a.s.b.l.)

13 h 00

DEJEUNER & DJEMBE

Accréditation demandée - Frais d'inscription : 10 euros
Compte : 091-0089830-37 - CHU Sart-Tilman - pour le compte 4067 Professeur LEPAGE

Renseignements et inscription :

Docteur Claire HOYOUX

Fax : 04/225 73 54 - Tél. : 04/223 85 92 - Tél. secrétariat (p.m.) : 04/225 75 17

Adresse e-mail : claire.hoyoux@chrcitadelle.be

Hydrea versus greffe de moëlle osseuse dans l'anémie falciforme

Marie-Françoise Dresse, CHR Citadelle, ULg

Le traitement préventif de l'anémie falciforme, tel que la prophylaxie par pénicilline, le vaccin anti-pneumococcique ou les programmes transfusionnels, augmentent la survie des enfants atteints de drépanocytose.

C'est en 1995 que Charache démontre l'importance de l'**hydroxyurée**, agent modulateur de l'hémoglobine F, dans une étude randomisée, chez les patients drépanocytaires. Depuis lors, des études cliniques réalisées tant chez l'adulte que chez les enfants ont prouvé l'efficacité de l'hydroxyurée et sa bonne tolérance à court terme. Les effets de l'hydroxyurée sont de :

- 1) diminuer significativement le taux annuel de crises vaso-occlusives
- 2) augmenter l'intervalle entre deux crises
- 3) réduire l'incidence des « acute chest syndrome »
- 4) réduire les besoins transfusionnels
- 5) réduire les coûts inhérents à la maladie principalement secondaire à une diminution des jours d'hospitalisation.

Par contre, l'hydroxyurée ne diminue pas le nombre d'accidents vasculaires cérébraux, et son efficacité pour la prévention de dommages viscéraux reste à démontrer dans des études randomisées.

Plusieurs registres (belge, français et américain) étudient les effets à long terme de l'hydroxyurée. L'effet secondaire le plus fréquent est la myélosuppression qui est en général transitoire. La tératogénicité de l'hydroxyurée est démontrée, raison pour laquelle une contraception est donnée aux patients drépanocytaires sous hydroxyurée. Le risque de cancer secondaire paraît faible dans la première étude à large échelle qui a débuté en 1992.

La transplantation de cellules hématopoïétiques est le seul traitement curatif disponible actuellement. Depuis la première transplantation de moëlle réalisée en 1984, environ 175 patients ont été greffés à partir d'un donneur familial, pour une drépanocytose. Dans les études multicentriques réalisées en Europe et aux USA, dont les critères de greffes étaient les complications vaso-occlusives, la probabilité de survie est de 94% et la probabilité de survie sans maladie est de 84% à 5 ans. Cependant le groupe belge a transplanté 55 enfants, dont 14 enfants précocement avant le développement de complications. Les résultats chez ceux-ci montrent une meilleure survie avec 100% de survie et une survie sans maladie de 93%. Environ 10 % des patients greffés sont guéris alors qu'ils ont un chimérisme stable (co-existence de cellules de donneur et de receveur). Cette observation incite à développer des transplantations avec un conditionnement moindre (mini-transplantation) entraînant moins de toxicité. Elles sont très prometteuses pour cette pathologie non maligne qu'est la drépanocytose