

Complications tardives de la β -thalassémie majeure

**N.Ait Amer; F. Tensaout; N. Benyaa;
RM.Hamladji; R. Ahmed Nacer**

**Service d'Hématologie-Greffe de Moelle
Osseuse Centre Pierre et Marie Curie Alger**

14^{ème} Congrès National (SAHTS) Constantine 26 – 28 octobre 2017

Introduction

- Parmi les complications tardives, l'hémochromatose représente la complication majeure la plus redoutable chez les patients (pts) polytransfusés atteints de β -thalassémie majeure, avec installation de lésions cardiaques, hépatiques et endocriniennes.
- Nous rapportons les complications tardives et le devenir de 59 pts atteints de β -thalassémie majeure, recrutés dans notre service en cours de leur suivi au CTS, en septembre 1994.

Patients et méthodes

- **En 1994**: 59 pts ont été pris en charge
 - l'âge médian au moment de leur prise en charge dans notre service, est de 10 ans (4-24),
 - 55 pts (93%) ont un âge ≤ 16 ans,
 - le sex-ratio est de 1,46 (35H/24F)

- **En 2017**: La durée médiane de suivi de 300 mois (108-456)

Traitement (I)

- **Transfusion:**

Programme transfusionnel à raison d'un culot globulaire phénotype filtré toutes les 3 à 4 semaines

- **Chélation inadéquate :**

- introduction tardive à un âge moyen de **10 ans** (4-24)
- disponibilité irrégulière des chélateurs
- mauvaise observance.

Traitement (II)

Chélation (N=59)

Période	Molécules	Posologies
1994 à 2005	Déféroxamine	75 mg/kg/j en sc continue sur 12h 5j/7
2005 à 2011	Traitement séquentiel Défériprone Déféroxamine	75 mg/kg/j per os de j1 à j4 50 mg/kg/j en sc sur 12h j5 et j6
à partir de 2012	ICL670 (Exjade)	20 à 30 mg/kg/j

Traitement (III)

- **Splénectomie** : Elle a été réalisée chez 49 pts (83%) à un âge moyen de 7 ans (4- 25).
- **Allogreffe de cellules souches hématopoïétiques**: Elle a été réalisée chez 4 pts, avec un suivi médian de 300 mois (108-456).
 - 03 pts vivants bien portants avec chimérisme donneur
 - 01 pt en de rejet de greffe en reconstitution autologue, décédé d'une cirrhose hépatique.

Complications (I)

Hémochromatose:

➤ Evaluation

Ferritinémie:

- Le taux moyen est de 3430 $\mu\text{g/ml}$ (158-9000),
- Le seuil critique de 2500 $\mu\text{g/ml}$ corrélée à une atteinte cardiaque est dépassé chez 34 pts (58%)

Ponction biopsie hépatique: Elle a été réalisée chez 8 pts en vue d'une allogreffe: 04 cirrhoses, 02 fibroses, 02 sans anomalies.

Complications (II)

➤ Complications liées à l'hémochromatose:

Tous nos pts ont au moins une complication liée à l'hémochromatose.

1. Cardiaques: 20 pts (34%)

- Age moyen d'apparition: 20 ans (7-31)
- 16 cas d'insuffisance cardiaque globale
- 04 cas d'insuffisance cardiaque droite / HTAP

2. Hépatiques:

- Hépatomégalie avec débord hépatique supérieur à 2 cm: 41 pts (69%) ,
- la cytolysse hépatique ($\geq 2N$): 27 pts (46%).
- Cirrhose hépatique: 06 pts (10%)

Complications (III)

3. Endocriniennes:

- Retard staturo-pondéral: 49 pts (83%)
- Retard pubertaire: 43 pts (73%)
- Diabète: 11 pts (19%)
- Hypothyroïdie: 01 pt
- Hypoparathyroïdie: 01 pt

Autres complications:

- **Ostéoarticulaires:** 14 pts (24%)
 - Ostéoporose
 - Fractures pathologiques
- **Infectieuses:**
 - Hépatite B: 04 pts (07%)
 - Hépatite C: 03 pts (05%)
- **Auto-immunes:** 01pt (aggravation de l'hémolyse ,TCD positif , bonne évolution sous corticoïdes)

Devenir des 59 pts

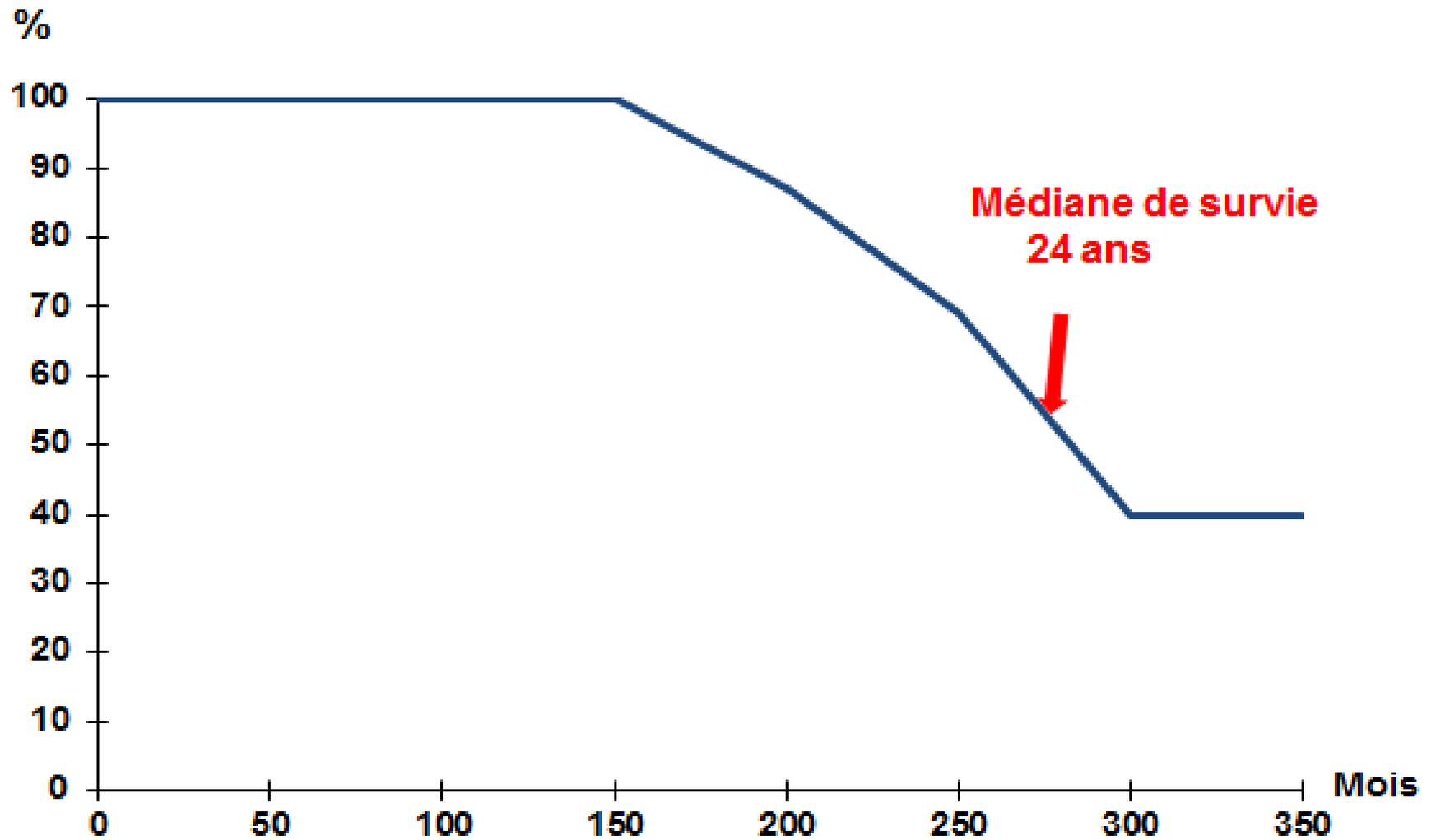
	Nombre	%	Age médian	Suivi médian (mois)
Vivants	26	44	29 (20-38)	256(108-420)
Décédés	33	56	22 (9-38)	324(216-456)

Causes de décès

- Décès:** - Nombre = 33 pts (56%)
- Age moyen de 22 ans (9-38)

Causes de décès	Nombre	%
Cardiaques	20	60
Cirrhose hépatique	05 (1pt en rejet de greffe)	15
Post splénectomie immédiat	04	12
Coma hyperosmolaire (diabète)	02	6
Urgence chirurgicale (cholécystite aiguë, occlusion intestinale)	02	06

Survie globale



Commentaires

- Tous nos pts ont au moins une complication liée à l'hémochromatose.
- La complication cardiaque a été retrouvée chez 20 pts (34%) et reste la première cause de décès (60%), ces résultats sont comparables à ceux de la littérature (57.4 %).
- La cirrhose hépatique a été retrouvée chez 06 pts (10%) et représente la deuxième cause de décès (15%) contre 0% dans la littérature.
- Plus de deux tiers (73%) de nos pts présentent un retard pubertaire (littérature 54.7%)
- 11pts (19%) ont développé un diabète dont 2 pts sont décédés d'un coma hyperosmolaire (littérature 6.4%).

Conclusion

- Actuellement le traitement conventionnel de la thalassémie majeure est bien codifié, ainsi que l'évaluation de l'hémochromatose.
- La mise en place d'un protocole de prise en charge multidisciplinaire et d'un **traitement conventionnel optimal dès le diagnostic** sont nécessaires pour réduire les complications et améliorer la survie.
- Avec un traitement conventionnel optimal, l'espérance de vie des β -Thalassémiques majeurs **dépasse 40 ans**.
- Dans notre série la **médiane de survie** est à **24ans** et l'âge moyen de décès est de **22 ans** (09-38)