



Octobre 2021

MINIMAG

Le magazine de la 5e Journée Nationale d'Information
des patients et de leur entourage

GRAND DOSSIER : **Covid, vaccination, HPN** **et aplasie médullaire**

D'après la communication du Dr Flore Sicre de Fontbrune, Centre de Référence des Aplasies Médullaires acquises et constitutionnelles à l'Hôpital Saint-Louis (Paris). **Page 12**

Avancées **thérapeutiques dans** **l'aplasie médullaire** **idiopathique**

D'après la communication du Pr Régis Peffault de Latour, Centre de Référence des Aplasies Médullaires acquises et constitutionnelles et HPN à l'Hôpital Saint-Louis et du Dr Fiorenza Baracco, CHU Lyon Sud. **Page 16**



Rédaction

· Dr Brigitte Blond

Conception

· LauMa communication

Impression

H2Impression

8 rue d'Uzès - 75002 Paris

Images et Droits photos

Licences Adobe Stock :

Kasto, Chokniti, Aleksej,

Alex Traksel, Fotomek,

Gerd Altmann, Maksim

Goncharenok, molekuul.

be, Paulista

· Page 15 : freestocks.org

EDITO

Le 5 juin dernier a eu lieu notre 5e édition de la Journée Nationale d'Information des patients et de leur entourage sur l'HPN et l'aplasie médullaire idiopathique. Une édition un peu particulière qui s'est déroulée entièrement en ligne en raison du contexte sanitaire.

Cette journée a pu voir le jour avec l'aide de la Filière MaRIH et du Centre de Référence des Aplasies Médullaires, et le soutien institutionnel des laboratoires Roche, Alexion et Sobi. Merci à eux pour leur aide et leur engagement auprès de notre association de patients.

Ce rendez-vous a été l'occasion pour les patients de mieux connaître leur pathologie, les innovations et actualités sur celle-ci grâce à la participation de médecins spécialistes de l'HPN et de l'aplasie médullaire et de leur prise en charge.

Les thèmes ont été nombreux : diagnostic de l'HPN et de l'aplasie médullaire idiopathique, surcharge en fer suite aux transfusions, nouveaux traitements de l'HPN, grossesse avec une HPN et/ou avec une aplasie médullaire et les nouveautés dans la greffe de moelle ou encore les dernières actualités dans les traitements de l'aplasie médullaire.

Merci à toutes et à tous d'avoir participé à notre 5e Journée Nationale d'Information des patients et de leur entourage, vous étiez plus d'une centaine à suivre l'évènement !

Nous tenons également à remercier chaleureusement les médecins experts pour avoir répondu à toutes les questions que les participants ont posées. Nous souhaitons que cette journée vous aura éclairé sur vos maladies. Dans l'attente de la prochaine édition, ce mini-mag propose un récapitulatif des informations clés partagées. Bonne lecture !

Merci à nos partenaires :



Avec le soutien institutionnel de :



LE MOT DU PRÉSIDENT

Le contexte sanitaire a profondément marqué la période que nous venons de traverser. De nouvelles questions se sont posées sur nos pathologies et sur les risques supplémentaires dus à la pandémie de Covid. Notre Association a fait le maximum durant cette période pour vous tenir informés des évolutions et des préconisations de nos médecins spécialistes.

Après un report d'un an dû à ces circonstances exceptionnelles et inédites, l'Association a eu la possibilité d'organiser sa 5e journée d'information des patients et de leur entourage, sous forme de visio-conférence. Cette rencontre régulière, qui permet aux patients et à leurs proches de dialoguer avec les médecins, est très importante et elle s'inscrit directement dans les missions d'information et d'échanges de l'association. Nous avons eu le plaisir de constater le succès de cette nouvelle édition de notre journée.

Dans le cadre de ses missions, et grâce aux nombreux dons que nous avons reçus, l'Association a attribué 2 bourses d'un montant global de 25 000 € pour financer de la recherche sur l'HPN et l'AMI. Les premières informations que nous avons reçues de nos lauréats semblent positives et encourageantes. Les résultats devraient être publiés d'ici la fin de cette année.

Nous tenons à remercier nos partenaires du corps médical et des laboratoires qui nous apportent leur soutien afin que nous puissions réaliser nos projets et accomplir nos missions. Nous tenons également à remercier les patients et leur entourage qui nous font confiance. Plus que jamais, l'Association reste à votre service et à votre écoute pour vous accompagner dans votre parcours quotidien difficile.

Jean-Benoit Birck

Page 4

Le diagnostic de l'HPN et de l'aplasie médullaire idiopathique

Page 6

Focus sur le ravulizumab (Ultomirs®), un nouveau traitement bientôt disponible pour l'HPN

Page 8

Les traitements futurs des HPN

Page 10

La surcharge en fer post-transfusionnelle

Page 12

Covid, vaccination, HPN et aplasie médullaire

Page 14

Le point sur grossesse et AM et/ou HPN

Page 15

Greffes et aplasies médullaires : actualités

Page 16

Avancées thérapeutiques dans l'aplasie médullaire idiopathique

Page 18

L'Association HPN France - Aplasie Médullaire

Le diagnostic de l'HPN et de l'aplasie médullaire idiopathique

D'après la communication du Dr Flore Sicre de Fontbrune, Centre de Référence des Aplasies Médullaires acquises et constitutionnelles à l'Hôpital Saint-Louis (Paris).



Le diagnostic de l'AM est le plus souvent posé devant des **symptômes en lien avec la baisse des différentes lignées sanguines** : anémie pour les globules rouges, fatigue ou fièvre / infections résistantes à une antibiothérapie en cas de polynucléaires bas, syndrome hémorragique dû à un moindre taux de plaquettes (révélé par des pétéchies, des saignements de nez ou des gencives, des bleus sans choc évident, etc.).

Toutefois, dans un certain nombre de cas, la maladie, une AM modérée ou même sévère, est une **découverte de hasard**, à l'occasion d'un bilan systématique. Les 3 lignées peuvent être toutes d'emblée atteintes au moment du diagnostic, ou parfois seulement une (les plaquettes le plus souvent). Dans la majorité des cas, la pancytopénie* est la règle, se complétant en quelques jours ou sur des années, avec des fluctuations, les évènements viraux modulant l'évolution de l'AM.

La prise en charge peut être urgente pour les formes sévères qui mettent en jeu le pronostic vital (infection sévère ou hémorragie au sein d'un organe vital). Elle est du ressort des services d'hématologie spécialisés, et, dans certains cas, des **centres de référence** pour des explorations complémentaires proposées à bon escient : frottis sanguin, myélogramme, et biopsie ostéomédullaire nécessaire pour confirmer le diagnostic.

Les explorations doivent être faites dès le diagnostic quelle que soit la sévérité de l'AM, pour anticiper l'aggravation, rechercher la cause, et évaluer les possibilités de greffes de moelle dans la fratrie pour les sujets jeunes. Ces AM sont dans l'immense majorité des cas d'origine acquise, immunologique : elles sont idiopathiques* ou surviennent à la suite d'une hépatite, associées à une HPN, etc. L'AM peut aussi être génétique, situation plus fréquente chez l'enfant mais diagnostiquée également de façon non exceptionnelle chez l'adulte. De l'étiologie dépend bien sûr le traitement et la surveillance, modalités et rythme.

L'HPN est une **maladie acquise**, ni héréditaire ni transmissible, qui survient dans l'immense majorité des cas en association à une aplasie médullaire immunologique (même quand les PNN et les plaquettes semblent normaux). Elle se caractérise par une atteinte des globules rouges, qui "explorent" dans le sang, ce qui induit une anémie par destruction et favorise la formation de caillots et en fait la gravité : un phénomène chronique émaillé par des poussées d'hémolyse à l'occasion d'épisodes infectieux.

Presque tous les patients HPN présentent une anémie hémolytique et/ou des thromboses en des sites atypiques (cerveau, foie, etc.), et la majorité ont eu ou auront une AM. Un clone HPN est alors identifié sur un test sanguin et sa "taille" (proportion des cellules HPN dans le sang est exprimée en %). Ce sont les symptômes de cette HPN qui déterminent la prise en charge et ceux de l'éventuelle aplasie associée. Le clone doit être suivi (en général une fois par an), plus souvent si ce clone augmente et qu'il existe des signes d'hémolyse.

Focus sur le ravulizumab (ULTOMIRIS®), un nouveau traitement bientôt disponible pour l'HPN

D'après la communication du Dr Louis Terriou, service de médecine interne et immunologie clinique (CHRU de Lille).

Les deux inhibiteurs de la voie terminale du complément, l'éculizumab et le ravulizumab, agissent tous deux en fin de parcours de la chaîne d'enzymes qui s'activent les unes après les autres pour stimuler le complément (qui vient se fixer en un complexe sur le globule rouge pour le lyser). Toutefois, la partie proximale de la chaîne reste fonctionnelle ce qui explique les phénomènes d'échappement à ces médicaments.

Si les 2 molécules sont efficaces de façon identique en termes de contrôle de l'HPN, par inhibition du complément, une petite modification de l'anticorps (le ravulizumab) permet son "recyclage" et ainsi allonge sa durée de vie, 3 à 4 fois supérieure. Ce second inhibiteur, qui autorise donc des injections tous les deux mois, versus tous les 15 jours, soit 6 injections versus 26 injections avec la molécule plus ancienne, fait aussi bien sur l'absence de recours à la transfusion et la normalisation de la LDH*.

Le profil de tolérance du ravulizumab est équivalent et des mesures de sécurité doivent être prises vis-à-vis du risque infectieux, méningites notamment (vaccinations et antibiotiques en prophylaxie, surveillance de la fièvre, etc.), à l'instar de ce qui se fait déjà pour l'éculizumab. Ce nouveau médicament, qui n'est pas encore enregistré en France, est attendu pour le 1^{er} trimestre 2022.





Les traitements futurs des HPN

D'après la communication du Pr Régis Peffault de Latour, Centre de Référence des Aplasies Médullaires et HPN à l'Hôpital Saint-Louis (Paris).

Le **traitement de référence** aujourd'hui, l'éculizumab, a en 2007 transformé la prise en charge des patients HPN, alors protégés des événements thrombotiques, ce qui leur permet d'atteindre une **espérance de vie égale** à celle de personnes indemnes de l'HPN. Toutefois, si un tiers des patients ont une vie subnormale -le ressenti des variations d'hémoglobine (Hb) est très variable d'un individu à l'autre, avec un taux d'Hb de plus de 10 g/dL, l'Hb d'un autre tiers est entre 8 et 10 (ce qui les oblige à des transfusions à l'occasion d'un événement infectieux par exemple, quand le médicament est "débordé" par l'activité du complément) et 20 à 30 % doivent être transfusés régulièrement.

L'éculizumab de Soliris®, comme le ravulizumab, inhibe l'action du complément dans sa partie terminale. Les **nouveaux inhibiteurs "proximaux"**, en cours d'expérimentation, au stade des essais cliniques (phase 3) pour l'instant, exercent leur effet plus à la source, ce qui, théoriquement, pourraient induire davantage de risques infectieux en particulier. La prévention du risque de méningites impose notamment des vaccinations (contre les pneumocoques, Hæmophilus, etc) et une antibioprophylaxie.



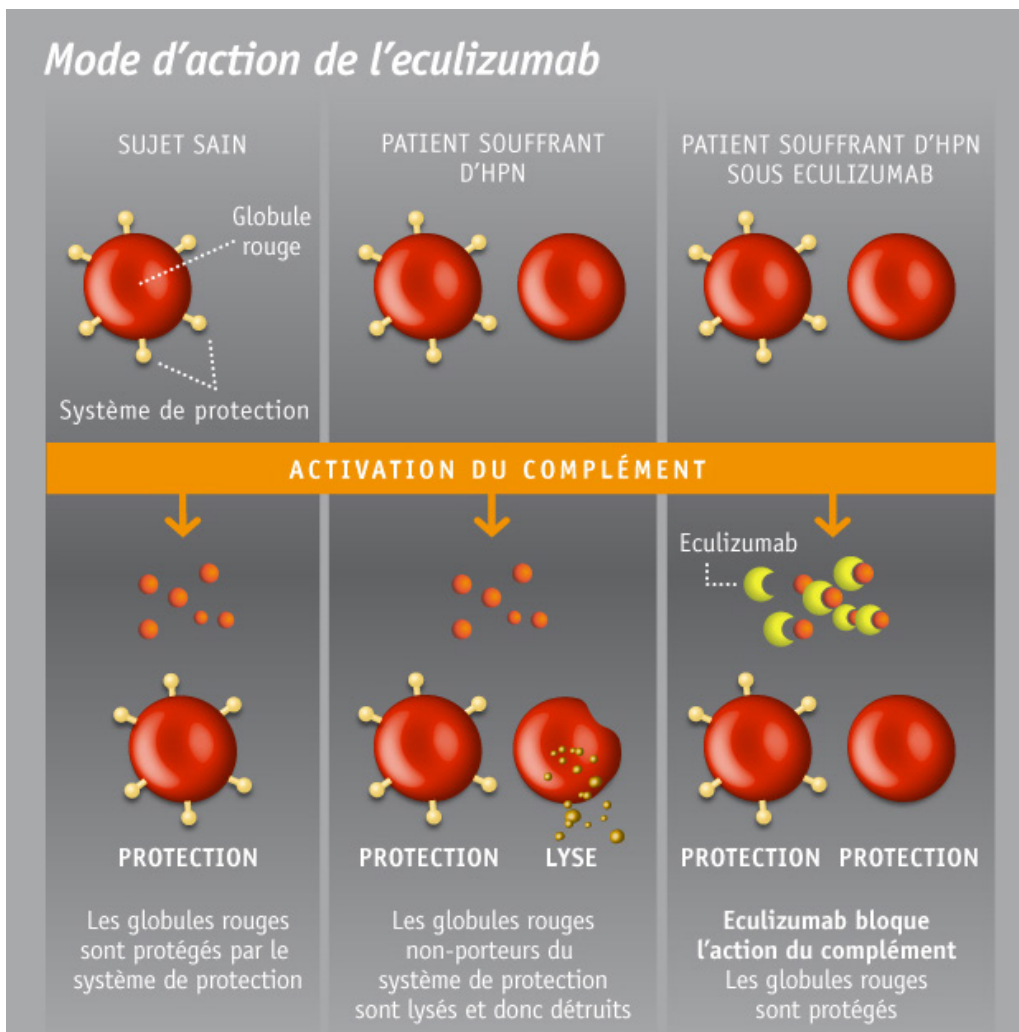
Pour ce qui est des **médicaments encore en phase de développement**, le **pegcetacoplan** (Apellis), testé chez des patients HPN non répondeurs à l'éculizumab, anémiques ou transfusés, a permis un gain de 3 points d'Hb, avec des effets qui semblent persistants (à un an de recul toutefois) : 70 % ne nécessitaient plus de transfusion, versus 15 % avant l'étude.

Un autre médicament, l'**iptacopan** de Novartis, per os, en cours de phase 3, rendait (en phases 1 et 2) tous les patients libres de transfusion. Enfin, le danicopan (d'Alexion), un inhibiteur de facteur D, per os, vise à normaliser l'Hb, en association avec l'éculizumab ou le ravulizumab.

Ces nouveaux médicaments sont donc en cours de développement, proposés uniquement dans les centres de référence qui font partie d'un réseau, les laboratoires les fournissant tant que le produit n'est pas validé.

À savoir, le délai médian entre l'approbation européenne (EMA) et la mise sur le marché en France est de 500 jours... Le ravulizumab est par conséquent attendu pour début 2022.

L'HPN est une sorte de **prototype pour la recherche** sur les médicaments dans la mesure où l'atteinte du complément est exclusive, ce qui explique que l'on mette à disposition plus rapidement de nouvelles molécules.



Mode d'action simplifié de l'eculizumab

La surcharge en fer post-transfusionnelle

D'après la communication du Dr Thierry Leblanc, CRMR Aplasies Médullaires de l'Hôpital Robert Debré (Paris).

L'élément "fer" est indispensable à la vie, pour la production de globules rouges essentiellement. Les besoins sont évalués entre 1 à 2 mg par jour, en sachant que le fer est mal absorbé par voie digestive, particulièrement le fer d'origine végétale.

Les transfusions sont responsables d'une surcharge en fer obligatoire compte tenu des apports (200 à 250 mg pour chaque culot) qui sont très au-delà des besoins et de la capacité de notre organisme, programmé pour le conserver et l'utiliser de façon optimale, à gérer cet excès de fer.

Le fer va donc s'accumuler dans les organes cibles que sont l'hypophyse, le cœur, le foie, le pancréas, et être responsable d'atteintes d'organes : insuffisances hormonales, insuffisance cardiaque, cirrhose, diabète... De plus, en cas de surcharge importante, on retrouve dans le sang du fer non lié à la transferrine (protéine de transport), qui est très toxique.

Un traitement chélateur du fer doit par conséquent être discuté dès 10 à 20 transfusions quand le taux de ferritine

franchit un certain seuil (500 à 1000 $\mu\text{g/L}$ selon le contexte), et le coefficient de saturation de la transferrine dépasse 70 %. Le traitement chélateur permet de contrôler très vite le fer libre dans le sang (non lié à la transferrine).

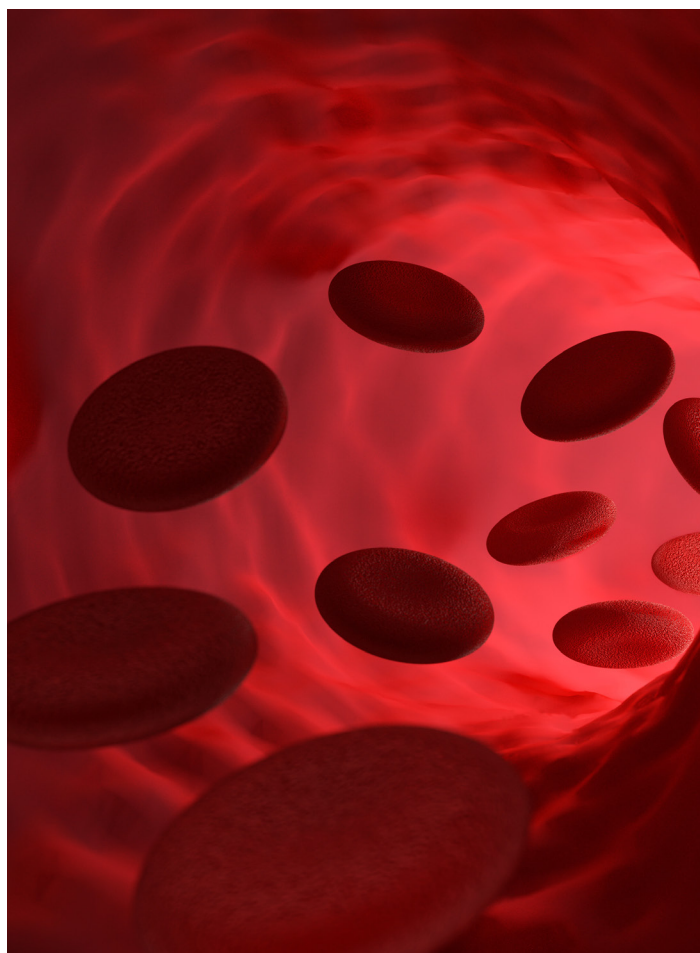


Image de synthèse de globules rouges dans le sang

Le contrôle de la surcharge en fer (fer accumulé dans les tissus) est plus lent et peut nécessiter 1 à 2 ans si le patient n'a pas été chélaté de façon optimale d'emblée ; le fer ne disparaît en effet que très progressivement des organes.

Le suivi de la ferritinémie permet d'apprécier le niveau de surcharge qui doit aussi être évalué, tous les 12 à 24 mois par l'IRM hépatique (le foie étant une sorte d'éponge à fer) et l'IRM myocardique.

Parallèlement des examens de suivi pour apprécier le retentissement de la surcharge en fer sur les différents organes cibles seront régulièrement pratiqués. Le suivi d'une surcharge en fer peut nécessiter une collaboration entre l'hématologue et différents spécialistes d'organe (endocrinologue, cardiologue, hépatologue, ...). Chez un patient qui est candidat à une greffe de moelle, il est logique d'essayer de réduire au maximum la surcharge en fer avant celle-ci.

Trois médicaments chélateurs du fer sont aujourd'hui disponibles : la déféroxamine (DESFERAL®), le déférasirox (EXJADE®) et la déféripone (FERRIPROX®). Dans le cadre d'une AA, le choix prendra en compte le stade de la maladie et un éventuel traitement en

cours (par exemple la ciclosporine ne peut être associée au déférasirox car les 2 médicaments ont une toxicité rénale). La desferrioxamine est peu toxique mais oblige à une perfusion sous-cutanée sur 8 à 12h heures (la nuit en pratique) et est en général donnée 5 jours sur 7.

Les deux autres chélateurs peuvent être pris par voie orale et sont plutôt proposés en seconde intention (ou en association avec la déféroxamine et alors prescrits à moindres doses).

La toxicité hématologique de la déféripone (agranulocytose) en fait plutôt un médicament de 3^e choix dans ce contexte d'AA. Rappelons que les saignées sont aussi un très bon moyen de contrôler une surcharge en fer ; ceci peut être mis en œuvre par exemple chez un patient avec AA qui a bénéficié d'une allogreffe de moelle.

Le suivi de la chélation est mensuel, il permet de vérifier l'efficacité du traitement (taux de ferritine) et d'ajuster si besoin les doses de chélateur, de s'assurer de l'absence de toxicité des chélateurs et d'évaluer les conséquences cliniques de la surcharge tissulaire.

Covid, vaccination, HPN et aplasie médullaire

D'après la communication du Dr Flore Sicre de Fontbrune, Centre de Référence des Aplasies Médullaires acquises et constitutionnelles à l'Hôpital Saint-Louis (Paris).

La Covid est une maladie infectieuse du virus SARS-CoV2 principalement respiratoire, qui atteint entre autres la sphère ORL et les poumons et, pour les formes graves, facilite la survenue de **thromboses et d'embolies pulmonaires**. Elle se caractérise, au plan hématologique, par une diminution transitoire des lymphocytes, une augmentation des polynucléaires (pour les formes sévères), une activation de la coagulation et parfois une réduction modérée du taux de plaquettes. L'âge, le genre masculin, l'HTA, le diabète ou l'obésité, l'insuffisance respiratoire chronique sont des **facteurs de risque de formes sévères** bien identifiées.

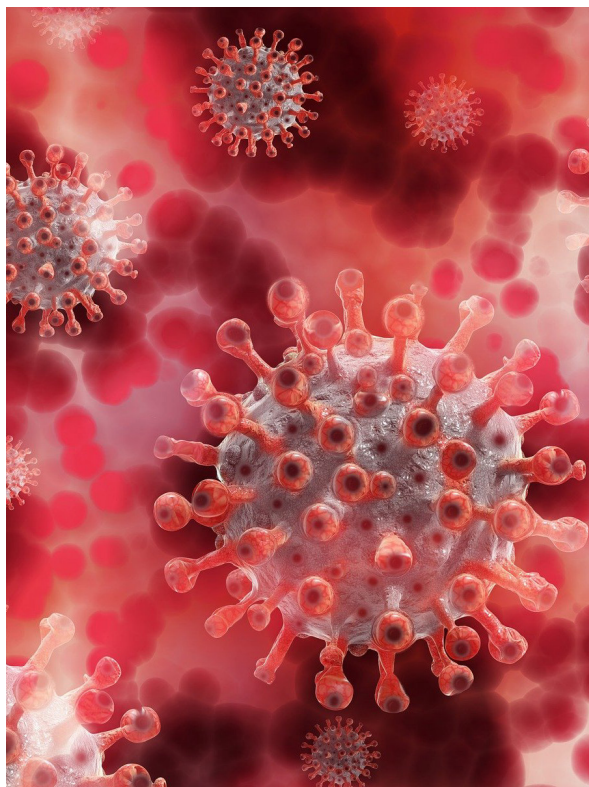


Image de synthèse, Coronavirus avec ses multiples protubérances protéiques (en rouge) qui lui donnent l'apparence d'une couronne.

Le risque de décès est plus important pour les patients qui reçoivent une chimiothérapie pour une leucémie ou un lymphome, en cas de transplantation d'organe solide ou de cellules souches hématopoïétiques (CSH), mais les facteurs communs aux personnes indemnes d'HPN et/ou AM (âge, obésité, etc.) sont confondants. Pour les patients, AA/HPN, il n'existe finalement pas de données qui mettent en lumière des facteurs de risque spécifiques, ce qui est **rassurant**.

De l'expérience de Saint-Louis, il ressort que le SARS-CoV2, comme tous les virus, peut induire une hémolyse aiguë (le complément, une protéine de l'inflammation, "sature" alors l'éculizumab) chez les patients présentant une HPN.

En cas de formes sévères, les patients ont reçu des héparines de bas poids moléculaire (HBPM) en prophylaxie (comme tout un chacun) et, dans ce contexte particulier, une nouvelle injection d'éculizumab.

La majorité des cytopénies observées chez les patients AA/HPN étaient relativement modérées, spontanément résolutes. Le déficit immunitaire des patients atteints d'AA sous ciclosporine étant bien moindre (que pour des patients allogreffés de moelle par exemple), les comorbidités en moins grand nombre, beaucoup ne présentaient que peu de symptômes.



S'agissant des vaccins à ARN messagers (Pfizer ou Moderna) ou à vecteurs adénoviraux non réplicatifs (AstraZeneca ou Janssen), dont on sait qu'ils protègent au moins des formes graves de la Covid, leurs effets indésirables graves font l'objet d'une surveillance rapprochée. Aucun des risques, excepté celui des thromboses avec le vaccin AstraZeneca, ne peut être lié avec certitude aujourd'hui aux vaccins. Pour les patients HPN, dont le risque de base de thrombose est déjà élevé, le vaccin AstraZeneca doit bien sûr être évité.

Quant au risque de NE PAS répondre aux vaccins, les données sont rassurantes pour la majorité des patients, y compris allogreffés.

Le point sur grossesse et aplasie médullaire et/ou HPN

D'après la communication du Dr Flore Sicre de Fontbrune, Centre de Référence des Aplasies Médullaires acquises et constitutionnelles à l'Hôpital Saint-Louis (Paris).

La première aplasie médullaire a été décrite à la fin du 19^e siècle chez une patiente enceinte... De fait, l'aplasie médullaire se révèle parfois au cours de la grossesse dans la mesure où celle-ci aggrave une ou plusieurs cytopénies (ce qui facilite le diagnostic), ou aussi parce qu'elle est une occasion de réaliser des prises de sang...

En cas d'AM et d'HPN, on observe une baisse plus précoce et plus marquée de l'hémoglobine dès le 1^{er} trimestre (chez les femmes enceintes on observe au 3^e trimestre une anémie physiologique modérée) et parfois des plaquettes qui peuvent nécessiter un support transfusionnel.

En résumé, la grossesse peut entraîner une majoration des cytopénies liée à l'AM ou favoriser une récurrence de l'AM qui peut nécessiter un traitement à l'issue de la grossesse : il s'agit donc d'une **situation à haut risque** qu'il convient d'évaluer en amont au cas par cas avec le médecin référent (les complications, pour la mère et l'enfant, étant corrélées à la sévérité des cytopénies). Les seuils transfusionnels sont en l'occurrence plus élevés



(hémoglobine ou plaquettes) tout au long de la grossesse qui doit être suivie dans une **maternité de niveau 3**.

Pour ce qui est de l'**HPN**, une grossesse était fortement déconseillée avant que l'éculizumab ne soit mis à disposition. Pris pendant la grossesse ou l'allaitement, cet anticorps monoclonal qui n'est pas tératogène (n'induit pas de malformation de l'enfant à naître), réduit significativement le risque, autrefois majeur de complications materno-foetales sévères, mais n'a pas d'impact sur l'AM sous-jacente.

Le médicament est donc proposé, associé à une prophylaxie par les HBPM, quand la taille du clone HPN le justifie (de plus de 15 à 20 %, où le risque de complications est élevé).

Greffes et aplasies médullaires (AM) : actualités

D'après la communication du Pr Jean-Hugues Dalle, Centre de Référence des Aplasies Médullaires et HPN à l'Hôpital Robert Debré (Paris).

Les actualités thérapeutiques pour ces maladies rares sont somme toute... rares. [Un protocole national de diagnostic et de soins](#) a été entériné il y a 18 mois qui fixe les conditions d'une greffe "en sécurité". Ainsi, [l'allogreffe](#) est restreinte en première ligne aux patients de moins de 40 ans qui ont un donneur géno-identique, c'est-à-dire totalement compatible, ce qui se produit une fois sur 4, lois de Mendel obligent, au sein d'une fratrie (de même père et même mère).

Le taux de survie globale est dans ces conditions très satisfaisant, de 90 % après un suivi médian de plus de 6 ans, même si la suite peut être émaillée d'évènements indésirables, liés en grande partie aux effets des corticostéroïdes pris à hautes doses en post-greffe (ostéonécrose et troubles endocriniens).

[Cet âge pivot de 40 ans](#) pour l'allogreffe est justifié par les chiffres de survie globale : près de 90 % pour les moins de 20 ans, 60 à 70 % pour les 20-40 ans. Après 40 ans, [la solution alternative est le traitement immunosuppresseur](#), avec un taux de survie là encore de 80 à 90 %, mais des incidents ultérieurs grèvent ce

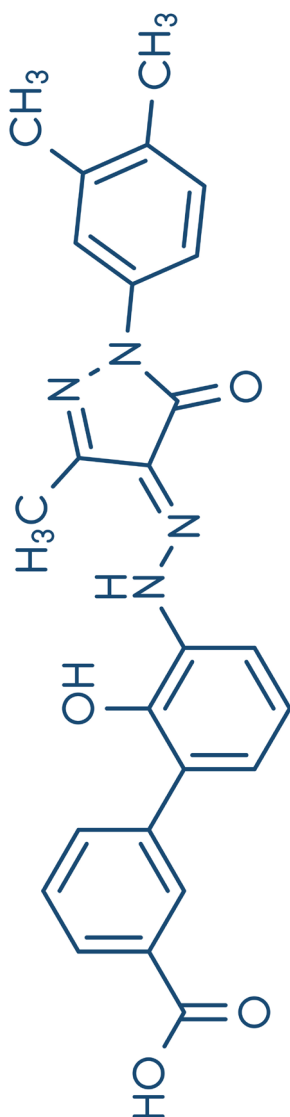
bon résultat : récurrence de l'aplasie à la diminution des IS, dépendance aux IS, insuffisance rénale, infections récurrentes, etc.

Il semble que mieux vaut l'allogreffe d'emblée, même avec des [donneurs non apparentés mais totalement compatibles](#) (10/10), pour les patients les plus jeunes, qui sont la situation la plus fréquente. Afin de vérifier cette hypothèse chez les moins de 18 ans, un projet de phase 2 débutera prochainement (dont les résultats sont attendus dans 5 ans).

Dans la très grande majorité des cas, les patients AM guérissent sans rechute avec la greffe, mais les traitements associés sont susceptibles de provoquer des complications (notamment maladie du greffon contre l'hôte). Le traitement antirejet est temporaire, le temps de la tolérance immunitaire, 18 à 24 mois en moyenne.

Avancées thérapeutiques dans l'aplasie médullaire (AM) idiopathique

D'après la communication du Pr Régis Peffault de Latour, Centre de Référence des Aplasies Médullaires et HPN à l'Hôpital Saint-Louis (Paris) et du Dr Fiorenza Baracco, CHU Lyon Sud.



Pour les patients non éligibles à la greffe de plus de 40 ans au moment du diagnostic ou plus jeunes mais qui ne disposent pas de donneur compatible, l'association ciclosporine/SAL (sérum anti-lymphocytaire) est la référence depuis près de 40 ans : elle détruit les lymphocytes "dérégés" et fait en sorte que les nouveaux "tolèrent" la moelle.

Au plus 60 % des patients y répondent, le reste est "réfractaire" et de multiples essais randomisés ont testé d'autres molécules, sans succès, jusqu'à il y a 4 ans, l'eltrombopag (un analogue de la thrombopoïétine) qui stimule la production de plaquettes et de cellules souches hématopoïétiques.

Les réponses, en termes de moindre recours à la transfusion notamment, sont patentes pour 80 à 95 % des patients ; pour ce qui est des réponses complètes (RC), de 10 à 15 % avec la combinaison SAL/ciclosporine, elles atteignent le double, voire le triple si l'on y ajoute l'eltrombopag : c'est à la fois la réponse globale et sa qualité qui sont augmentées.



Étape préalable à sa validation dans cette indication, le nouveau protocole (SAL/ciclosporine/eltrombopag) a été comparé au traitement standard (SAL/ciclosporine) dans un vaste [essai européen de phase 3](#), RACE, pour des patients atteints d'une AM sévère ou très sévère, l'objectif principal étant le triplement de la réponse complète (RC) à 3 mois.

LEXIQUE :

- **AA** : Anémie Aplasique (en anglais), aplasie médullaire (AM)
- **Idiopathique** : se dit d'une maladie pour laquelle on ne retrouve pas de cause
- **LDH (lactate déshydrogénase)** : marqueur de lésions tissulaires
- **Pancytopénie** : se traduit par une diminution du nombre des cellules de chaque lignée, globules rouges, globules blancs et plaquettes

Le taux de RC à 3 mois a été de 21,9 % pour SAL/Ci/Eltrom, versus 9,9 % pour SAL/ciclosporine ; à 6 mois, de 72 % pour SAL/Ci/Eltrom, versus 45 % pour SAL/ciclosporine. Et ce, sans surtoxicité liée à l'eltrombopag.

Le [protocole SAL/ciclosporine/eltrombopag](#) devient ainsi le traitement de référence de première intention des AM sévères non éligibles à la greffe. Une indication qui pourrait être étendue aux patients plus jeunes si les données de tolérance à long terme l'autorisent.

Association HPN France - Aplasie Médullaire

Quelques chiffres



1000

personnes atteintes d'Aplasie Médullaire Idiopathique en France



700

personnes atteintes d'HPN en France



300

adhérents ou donateurs de l'Association

Notre association HPN France – Aplasie Médullaire est une association loi 1901, créée en 2004 par de jeunes patients, leurs familles et des professionnels de santé.

Composée uniquement de bénévoles, notre association est dédiée à l'hémoglobinurie paroxystique nocturne et à l'aplasie médullaire idiopathique. Nous travaillons tous ensemble pour améliorer la connaissance sur ces maladies, faire progresser la recherche et apporter du soutien aux personnes atteintes de ces pathologies et à leur entourage.



Nos 5 grandes missions :

- 1) aider à la recherche sur les maladies rares du sang en récoltant des fonds ;
- 2) informer les patients et leur famille sur leurs maladies et traitements ;
- 3) sensibiliser le grand public sur le don du sang, de plaquettes et de moelle osseuse ;
- 4) mettre en relation les patients et leur entourage par un forum de discussion, des déjeuners et des journées patients ;
- 5) reconforter et soutenir les patients et leur famille au quotidien.

Membre de la filière des maladies rares MaRIH



Notre association est partie prenante de la filière de santé MaRIH (MALadies Rares Immuno-Hématologiques). Cette filière, créée par le Pr Régis Peffault De Latour de l'Hôpital Saint Louis, regroupe des médecins, des hématologues, des hôpitaux, des laboratoires et 13 associations de patients, dont l'association HPN France- Aplasie Médullaire, afin de pouvoir échanger et mieux communiquer entre tous les acteurs s'occupant des maladies rares du sang.

Membre de l'Alliance Maladies Rares



Depuis 2019, notre association est devenue membre de l'Alliance Maladies Rares. Cette organisation regroupe plus de 230 associations dédiées aux maladies rares. L'Alliance Maladies Rares s'est imposée comme un porte-parole national capable d'influer sur les politiques concernant ces maladies. Elle est fortement impliquée dans l'élaboration et le suivi du Plan National Maladies Rares.

**Pour adhérer à l'association ou faire un don,
scannez le QR code suivant :**





Retrouvez-nous sur notre site internet : <https://hpnfrance.com/>
Découvrez nos actualités sur Facebook : @HPNFranceAplasiMedullaire

Merci à nos partenaires !



Avec le soutien institutionnel de :

