

## 16ème législature

<b>Question N° :</b> <b>5621</b>	De <b>M. Philippe Berta</b> ( Démocrate (MoDem et Indépendants) - Gard )	<b>Question écrite</b>
<b>Ministère interrogé</b> > Santé et prévention		<b>Ministère attributaire</b> > Santé et prévention
<b>Rubrique</b> >santé	<b>Tête d'analyse</b> >Urgence de greffe pédiatrique pour les enfants atteint drépanocytose	<b>Analyse</b> > Urgence de greffe pédiatrique pour les enfants atteint drépanocytose.
Question publiée au JO le : <b>14/02/2023</b> Réponse publiée au JO le : <b>03/10/2023</b> page : <b>8835</b> Date de changement d'attribution : <b>21/07/2023</b>		

### Texte de la question

M. Philippe Berta appelle l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention concernant le manque de lits au sein des unités de greffe pédiatrique pour les enfants atteints de drépanocytose. Cette maladie génétique affecte l'hémoglobine des globules rouges, elle est causée par la mutation du gène de la bêta-globine. Elle se manifeste notamment par des crises douloureuses, une anémie importante et des risques accrus d'infections. Le diagnostic de la drépanocytose fait partie des treize maladies graves de l'enfant du programme national de dépistage néonatal récemment mis en place, une avancée majeure. Encore peu systématisé, le diagnostic de cette pathologie démontre pourtant qu'elle touche près de 1700 naissances en France. Les chiffres représentent seulement les enfants diagnostiqués, l'errance diagnostic est toujours prégnante. L'espérance de vie des enfants concernés est considérablement réduite, de même que leur qualité de vie. Les recherches fondamentales et cliniques actuelles laissent espérer de nouveaux traitements par biothérapies, mais ils ne sont encore qu'en phase d'essais cliniques. Quant aux programmes transfusionnels, actuellement réalisés, leurs effets secondaires font courir des risques sévères d'hémolyse, d'alloimmunisation, de problèmes aigus des voies ou encore de surcharge en fer aux jeunes malades. La greffe de cellules souches hématopoïétiques s'impose comme la seule solution pérenne et non invasive. Or les services de greffe pédiatrique destinent en priorité ces lits aux enfants atteints de leucémie en raison du caractère vital de cette maladie. Une solution durable doit rapidement être trouvée afin de résoudre ce problème de triage involontaire dans les services de greffe pédiatrique. Deux possibilités sont envisageables. L'une est immédiate et concerne la réservation de lit dans ces services pour les enfants drépanocytaires. L'autre est programmatique et propose l'ouverture d'un service dédié. Aussi, il lui demande de bien vouloir lui indiquer quelles mesures à court et à long terme compte prendre le Gouvernement concernant le manque de lit pour les enfants atteints de drépanocytose et en attente de greffe ?

### Texte de la réponse

La drépanocytose est une maladie du sang due à une anomalie de l'hémoglobine, protéine contenue dans les globules rouges et servant à approvisionner le corps en oxygène. Les principales manifestations et symptômes de la maladie sont l'anémie chronique, des crises vaso-occlusives pouvant toucher plusieurs organes et qui se manifestent par des douleurs vives et brutales, une moindre résistance à certaines infections et complications à long terme (atteintes rénales, auditives et visuelles, pulmonaires, des calculs rénaux, des ulcères dans les jambes...). Mêmes si

les symptômes de la maladie sont variables et dépendent non seulement de l'âge, mais aussi de la sévérité de la drépanocytose, cette maladie altère la qualité de vie des patients tout en pouvant entraîner de l'isolement, de la stigmatisation ainsi que de l'exclusion sociale. Aussi, la prise en charge médicale de la drépanocytose doit être coordonnée et appuyée par des bonnes pratiques, afin de réduire la survenue et la sévérité de certains symptômes via un suivi régulier. Un réseau maladies rares drépanocytose est présent sur tout le territoire français avec des centres de référence experts, labellisés depuis le premier plan national maladies rares (PNMR1), et coordonnés au sein de la filière de santé maladies rares (MCGRE, maladies constitutionnelles rares du globule rouge et de l'érythroïèse). Plusieurs protocoles nationaux de diagnostic et de soins « drépanocytose » (enfants et adultes) font l'objet d'une actualisation. Actuellement, le seul traitement curateur de la drépanocytose est la greffe de moelle osseuse qui permet de remplacer la moelle produisant des globules rouges falciformes par une moelle saine fabriquant une hémoglobine A. Toutefois, elle nécessite une prise en charge lourde. Aujourd'hui cette greffe bénéficie prioritairement aux formes les plus sévères de la maladie, notamment aux patients atteints d'hémopathies malignes (leucémies, myélomes, lymphomes), chez lesquels la greffe est très souvent urgente. La France s'est dotée, en 2000, d'un premier plan ministériel pluriannuel visant le développement du prélèvement et de la greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH), toutes indications confondues. Trois autres plans ont été adoptés depuis lors, le dernier au printemps 2022 pour la période 2022-2026. Parmi les objectifs de ce nouveau plan figure la poursuite de l'accroissement quantitatif et qualitatif du registre des donneurs volontaires de moelle osseuse (Registre France Greffe de Moelle), qui a observé un nombre particulièrement élevé de nouvelles inscriptions en 2022. Ce sont actuellement 2 000 allogreffes de CSH qui sont réalisées chaque année au bénéfice de patients âgés de 1 mois à 70 ans, dont 55 % grâce à des greffons non apparentés. Le nouveau plan aborde également la question de l'organisation du prélèvement et de la greffe au sein des établissements de santé, et notamment celle de l'amélioration de l'accès des patients aux services spécialisés de greffe, dans un contexte de tension globale pour l'hôpital public. L'atteinte des objectifs du plan bénéficiera à la greffe de CSH dans toutes ses indications, y compris dans son indication de traitement de la drépanocytose. D'importants moyens sont aussi déployés dans le domaine de la recherche afin de trouver des thérapeutiques innovantes à la drépanocytose. Plusieurs solutions basées sur la thérapie génique et la transfusion sanguine par érythraphérèse sont en cours d'essais cliniques. Depuis dix ans, le ministère chargé de la santé a pu financer seize projets dans le champ de la drépanocytose. Vingt-quatre essais cliniques sont en cours concernant le traitement de cette maladie.