



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

**LISTE DES ACTES ET PRESTATIONS
AFFECTION DE LONGUE DURÉE**

Purpura thrombopénique immunologique de l'enfant et de l'adulte

Octobre 2009

Ce guide médecin est téléchargeable sur
www.has-sante.fr

Haute Autorité de Santé

2, avenue du Stade-de-France - F 93218 Saint-Denis La-Plaine Cedex
Tél. :+33 (0)1 55 93 70 00 - Fax :+33 (0)1 55 93 74 00

Sommaire

1. **Avertissement** 4
2. **Critères médicaux d'admission en vigueur (*Haut Comité médical de la Sécurité sociale - 2002*)** 5
3. **Liste des actes et prestations nécessaires au suivi et au traitement du purpura thrombopénique immunologique** 6

Mise à jour des PNDS / ALD

Le Protocole national de diagnostic et de soins (PNDS) pour purpura thrombopénique immunologique de l'enfant et de l'adulte a été élaboré par le centre de référence labellisé avec le soutien méthodologique de la Haute Autorité de Santé (HAS), en application des dispositions du Plan national maladies rares 2005-2008.

Dans le cadre de sa mission relative aux affections de longue durée, la HAS valide le PNDS. Ce dernier, ainsi que la Liste des actes et prestations (LAP) qui en découle, sont révisés tous les 3 ans. Dans l'intervalle, la LAP est actualisée au minimum une fois par an et disponible sur le site internet de la HAS (www.has-sante.fr).

1. Avertissement

La loi n° 2004-810 du 13 août 2004 relative à l'Assurance maladie a créé la Haute Autorité de santé et a précisé ses missions, notamment dans le domaine des affections de longue durée (article R.161-71 du Code de la Sécurité sociale).

La loi n° 2004-810 du 13 août 2004 relative à l'Assurance maladie a créé la Haute Autorité de santé et a précisé ses missions, notamment dans le domaine des affections de longue durée (article R.161-71 du Code de la Sécurité sociale).

En son article 6, elle modifie l'article L.322-3 du Code de la Sécurité sociale, qui définit les circonstances d'exonération du ticket modérateur pour l'assuré, et l'article L.324-1 du même Code, qui précise les obligations en cas d'affection de longue durée, notamment celle d'établir un protocole de soins de façon conjointe entre le médecin traitant et le médecin-conseil de la Sécurité sociale. Ce protocole est signé par le patient ou son représentant légal.

Conformément à ses missions, fixées par le décret n° 2004-1139 du 26 octobre 2004, la Haute Autorité de Santé :

- émet un avis sur les projets de décrets pris en application du 3° de l'article L.322-3 fixant la liste des affections de longue durée comportant un traitement prolongé et une thérapeutique particulièrement coûteuse ;
- formule des recommandations sur les critères médicaux utilisés pour la définition de ces mêmes affections ;

Les critères médicaux utilisés pour la définition de l'affection de longue durée et ouvrant droit à la limitation ou à la suppression de la participation de l'assuré sont annexés à la liste des affections figurant à l'article D.322-1 du Code de la Sécurité sociale.

- formule des recommandations sur les actes et prestations nécessités par le traitement des affections mentionnées à l'article L.324-1 pour lesquelles la participation de l'assuré peut être limitée ou supprimée, en application du 3° de l'article L.322-3.

Ces recommandations peuvent également porter sur les conditions dans lesquelles doivent être réalisés ces actes et prestations, notamment leur fréquence de réalisation, la durée de validité du protocole de soins et les actes et prestations que ne nécessite pas, de manière générale, le traitement des affections en cause.

2. Critères médicaux d'admission en vigueur (Haut Comité médical de la Sécurité sociale - 2002)

Les affections qui suivent relèvent de l'exonération du ticket modérateur.

Autres cytopénies chroniques ou à rechutes

Les plus fréquentes résultent d'une destruction de mécanisme immunologique. Ces manifestations peuvent parfois révéler ou compliquer une maladie auto-immune générale (lupus érythémateux disséminé), un lymphome ou une leucémie lymphoïde chronique et relèvent alors de la prise en charge spécifique de chaque affection. Cependant, elles sont bien souvent idiopathiques. Elles n'en requièrent pas moins des traitements longs, parfois très coûteux, et dépendent donc d'une prise en charge spécialisée. Même guéries en apparence, leur risque de rechute est imprévisible, justifiant une surveillance prolongée.

- **Anémies hémolytiques auto-immunes chroniques**

Ce cadre recouvre la maladie chronique des agglutinines froides et les anémies hémolytiques par auto-anticorps chauds. Le principal critère du diagnostic est la positivité du test de Coombs direct dans un contexte d'anémie ou d'hémolyse.

- **Purpura thrombopénique auto-immun chronique**

La thrombopénie est isolée. Le myélogramme est normal et riche en mégacaryocytes.

- **Neutropénies chroniques sévères**

Elles comportent le syndrome de Felty et des variétés idiopathiques. Il convient d'exclure de ce cadre les (fréquentes) pseudo-neutropénies par excès de margination des polynucléaires habituellement moins prononcées et dénuées de risque infectieux.

3. Liste des actes et prestations nécessaires au suivi et au traitement du purpura thrombopénique immunologique

3.1. Actes médicaux et paramédicaux

Professionnels	Situations particulières
Recours systématique	
Médecin généraliste	Tous les patients (évaluation initiale, traitement, suivi)
Hématologue (adulte ou pédiatrique)	Tous les patients (évaluation initiale, traitement, suivi)
Médecin interniste	Tous les patients (évaluation initiale, traitement, suivi)
Pédiatre	Enfants (suivi)
Recours en cas de nécessité	
Médecins spécialistes autres que l'hématologue dont le médecin responsable de la délivrance des PSL	
Infirmier	Gestion des actes de soins et de suivi définis suivant l'état du patient
Psychologue	Accompagnement psychologique du malade et de son entourage si nécessaire (prestation dont le remboursement n'est possible que dans le cadre de structures hospitalières ou de réseaux)
Diététicien	Mesures diététiques d'accompagnement du traitement par corticoïdes si difficulté d'adhésion au régime alimentaire (prestation dont le remboursement n'est possible que dans le cadre de structures hospitalières ou de réseaux)

L'**éducation thérapeutique** constitue une dimension de l'activité de certains professionnels. Elle doit veiller à l'implication du patient ayant une cytopénie chronique : intelligibilité de sa maladie et adaptation du mode de vie. Elle comporte :

- une information, qui porte sur les thérapeutiques disponibles, les effets indésirables possibles du traitement reçu par le patient, la planification des examens de routine ou de dépistage de complications éventuelles et leurs résultats ;
- la vérification de la connaissance :
 - des précautions simples qui peuvent éviter la survenue de saignements plus graves ;
 - des signes annonciateurs d'une hémorragie grave dont l'existence nécessite un avis spécialisé en urgence.

Ces actions d'éducation reposent avant tout sur une information claire de la part du spécialiste en hématologie. Elles requièrent le concours de différents professionnels de santé, qui peuvent intervenir au moyen d'actes individuels auprès des patients ou par une éducation de groupe. La coordination des différents professionnels est préférable à la juxtaposition d'interventions isolées.

3.2. Biologie

Examens	Situations particulières
Examens systématiques	
NFS	Tous les patients
Frottis sanguin	Tous les patients
Electrophorèse des protéines sériques ou dosage pondéral des Ig	Tous les patients
Sérologies VIH, Sérologies des hépatites B et C	Tous les patients
Bilan hépatique	Tous les patients
Anticorps antinucléaires	Tous les patients
TSH et anticorps antithyroïde	Tous les patients
Créatinine	Tous les patients
TP TCA Fibrinogène	Tous les patients
Groupe sanguin, agglutinines irrégulières	Tous les patients

Liste des actes et prestations – ALD 2 - Purpura thrombopénique immunologique de l'enfant et de l'adulte

Examens	Situations particulières
Examens en fonction du contexte	
Myélogramme +/- caryotype médullaire	<p>Non systématique.</p> <ul style="list-style-type: none"> • chez l'enfant, discuté en cas d'anomalies cliniques ou hématologiques associées : <ul style="list-style-type: none"> - Organomégalie, douleurs osseuses, altération de l'état général - Anomalies des autres lignées, une anomalie sur le frottis évoquant une atteinte centrale - PTI réfractaire aux thérapeutiques usuelles (IgIV ou corticoïdes) <p>Avant corticothérapie Avant splénectomie</p> <ul style="list-style-type: none"> • chez l'adulte : les indications indiscutables sont la présence d'un ou de plusieurs des éléments suivants: <ul style="list-style-type: none"> - Âge > 60 ans, - Anomalie des autres lignées, anomalie sur le frottis, - Organomégalie, - Absence de réponse à un traitement de première ligne, - Avant splénectomie - et pour certains, avant rituximab, si ce dernier est administré avant la splénectomie
Recherche d'un anticoagulant circulant Anticorps anticardiolipides	Contexte auto-immun
<i>Breath-test</i> à l'uréase ou recherche d'antigène dans les selles	Chez l'adulte, recherche d'une infection par <i>Helicobacter pylori</i>
Immunophénotypage des lymphocytes circulants	Déficits immunitaires
Immunoélectrophorèse des protéines sériques	Déficits immunitaires
Étude de la durée de vie isotopique des plaquettes	En cas de difficulté diagnostique ou lorsqu'une splénectomie est envisagée

Liste des actes et prestations – ALD 2 - Purpura thrombopénique
immunologique de l'enfant et de l'adulte

Examens	Situations particulières
Recherche d'anticorps antiplaquettes.	Par MAIPA (<i>monoclonal antibody-specific immobilization of platelet antigens assay</i>) utile qu'en cas de difficulté diagnostique

3.3. Actes techniques

Actes	Situations particulières
Échographie abdominale	Recherche d'une splénomégalie et de signes d'hypertension portale, en particulier si le patient est difficile à examiner
Splénectomie	Traitement chirurgical de seconde ligne : traitement de référence
Autogreffe de cellules souches périphériques	Traitement des patients en échec d'une seconde ligne de traitement

3.4. Traitements

Traitements pharmacologiques ⁽¹⁾	Situations particulières
Traitements de première ligne	
Corticothérapie par voie orale	
Perfusion d'immunoglobulines intraveineuses	<p>Indiquée uniquement en cas d'urgence et dans les situations suivantes :</p> <ul style="list-style-type: none"> - Saignements importants chez un patient ayant une thrombopénie <i>de novo</i>. Traitement des accidents hémorragiques aigus graves des formes chroniques chez un patient connu comme étant cortico-résistant. Préparation à la splénectomie ou à un acte invasif chez un patient corticorésistant. - Contre-indication aux corticoïdes : diabète déséquilibré, antécédent de troubles psychiatriques sous corticoïdes, infection en cours.
Traitements médicaux de seconde ligne chez l'enfant et chez l'adulte	
Agonistes du récepteur de la thrombopoïétine (TPO)	
Azathioprine	
Cyclophosphamide	(utilisation hors AMM)

1 Les guides mentionnent généralement une classe thérapeutique. Le prescripteur doit s'assurer que les médicaments prescrits appartenant à cette classe disposent d'une indication validée par une autorisation de mise sur le marché (AMM). Dans le cas d'une prescription hors AMM, celle-ci doit faire l'objet d'une information complémentaire spécifique pour le patient.)

Liste des actes et prestations – ALD 2 - Purpura thrombopénique immunologique de l'enfant et de l'adulte

Traitements pharmacologiques ⁽¹⁾	Situations particulières
Cicloporine A	(utilisation hors AMM)
Danazol	(utilisation hors AMM)
Dapsone	(utilisation hors AMM)
Mycophénolate mofetil	(utilisation hors AMM)
Rituximab	(utilisation hors-AMM dans le cadre d'un protocole temporaire de traitement (PTT))
Traitements des patients en échec d'une seconde ligne de traitement	
Agonistes de la TPO	
Polychimiothérapie	
Alemtuzumab	(utilisation hors AMM)
Traitements adjuvants	
Acide tranexamique	
Desmopressine	(utilisation hors AMM)
Calcium et vitamine D	Si corticothérapie prolongée
Bisphosphonates <i>per os</i>	Si besoin en cas de rare corticothérapie prolongée (chez l'adulte)
Sels de potassium	Si besoin en cas de rare corticothérapie prolongée

Liste des actes et prestations – ALD 2 - Purpura thrombopénique
immunologique de l'enfant et de l'adulte

Traitements pharmacologiques (1)	Situations particulières
Vaccin antipneumococcique (proposé systématiquement chez l'adulte et l'enfant) et anti- <i>haemophilus</i> (proposé systématiquement chez l'enfant) Anti méningococcique facultatif	Avant splénectomie
Pénicilline	Après splénectomie



Toutes les publications de l'HAS sont téléchargeables sur
www.has-sante.fr