

## DREPANOCYTOSE COMPLICATIONS

Greffes Neurologiques Infectieuses  
syndrome thoracique aigu Contraception  
Atteintes rénales Atteintes ostéo-articulaires  
Les cas particuliers Infectieuses Transfusions  
Atteintes cardiaques Problèmes sociaux Ulcères  
Les complications aiguës Complications ophtalmologiques  
Complications de la sphère ORL  
Les complications chroniques  
Priapisme



Congrès International  
Sur la Drépanocytose



Du 12 au 14  
Octobre 2023



**DORYS**  
Association de Lutte  
contre la Drépanocytose

## DREPANOCYTOSE COMPLICATIONS

Greffes Neurologiques Infectieuses  
syndrome thoracique aigu Contraception  
Atteintes rénales Atteintes ostéo-articulaires  
Les cas particuliers Infectieuses Transfusions  
Atteintes cardiaques Problèmes sociaux Ulcères  
Les complications aiguës Complications ophtalmologiques  
Complications de la sphère ORL  
Les complications chroniques  
Priapisme

**bnu**  
strasbourg



6 Place de la République, 67000 Strasbourg, FRANCE

Contact : [dorys.asso@gmail.com](mailto:dorys.asso@gmail.com) | +33 6 68 51 90 68

**MERCI !!!  
THANKS !!!**



# Stéphanie Le Corneur Yancouba Diébaté



**MERCI !!!**



## Dr Constant Vodouhe

Le « 18ème congrès international sur la drépanocytose » organisé par l'Association DORYS s'est tenu du 12 au 14 octobre 2023 à la Bibliothèque Nationale Universitaire de Strasbourg. C'était l'occasion pour des chercheurs, des médecins, des paramédicaux, des sociétés, des Fondations, des représentant d'associations de patients, de patients et de sympathisants de se réunir autour du Patient.

Tous ces acteurs au nombre de 163 sont venus de différents pays à savoir : Belgique, Bénin, Cameroun, Congo, Côte d'Ivoire, France, Gabon, Gambie, Guyane, Irlande, Italie, Mayotte, Niger, Nigéria, RDC, Sénégal, Togo, USA.

Après l'ouverture du congrès par le président du comité d'organisation, le Docteur Constant VODOUHE et le président du conseil médico-scientifique, le Professeur Frédéric GALACTÉROS, le ministre de Santé du Bénin, son Excellence Benjamin HOUNKPATIN a fait une allocution. Un discours de plaidoirie et d'engagement en faveur de la bonne prise en charge de la maladie et du bien-être des patients qui, s'est soldé par son accord de principe pour accueillir le prochain congrès en République du Bénin. Merci d'avance à M. le Ministre et ses collaborateurs.

Si le plus souvent, on parle des complications physiologiques de la drépanocytose, l'aspect mental est souvent oublié. Or, il est présent soit dans le déclenchement des crises, soit dans le bien-être du patient ; et par conséquent sa qualité de vie. Beaucoup de présentations ont relevé cela avec une aide qui pourrait-être apporté par le coaching émotionnel (Roch HOUNGNIHIN, Lucrèce DELICAT, Vincenzo VOI, Anne-Marie SOW, Marie-Claire KOFI, Lanetta BRONTE-HALL, Julie KANTER, Agathe WAKUNGA, Clara FAHY, Ify OSUNKWO). Deux enquêtes remarquables concernant la sexualité et la fatigue ainsi que l'activité physique adaptée apportent aussi leurs réponses concernant la qualité de vie des patients (Anne CORBASSON, Narcisse ÉLENGA, VODOUHÉ).

Ce congrès alliait en effet la science fondamentale à la recherche clinique concernant la recherche sur le rôle de la nutrition et des nouvelles molécules sur la douleur (Kalpa GUPTA, Claudia MORRIS, Susanna CURTIS, Ify OSUNKWO), sans oublier le problème d'addiction lié aux prises d'opioïdes (Gnaqui GASSAMA) et, le développement d'un outil pour la prise en charge de la douleur de façon hollistique (Pierrick POISBEAU, Constant VODOUHÉ).

Le rôle du doppler toujours aussi important de même que les bénéfices d'une greffe dès le jeune âge et le traitement par l'hydroxyurée ont été évoquées (Françoise BERNAUDIN, Suzanne, VERLHAC, Bernice QUENUM, Chloé GERBER, Charlotte NAZON).

Les pièges des résultats concernant les dépistages, des subtilités des différentes formes de « syndrome drépanocytaire majeur » ainsi que leurs complications : ulcères, syndrome thoracique aigu, insuffisances rénales, rétinopathie, ostéonécroses ont été traités (Frédéric GALACTÉROS, Patricia SENET, Armand MEKONTSO-DESSAP, Pablo BARTOLUCCI, Santosh SARAF, Dieu merci BETUKUMESU, Élodie FANCHONNA, Manassé KAKPO, Monelle GANDEGNON).

La grossesse chez la femme vivant avec la drépanocytose est à haut risque et a besoin d'une surveillance régulière (Laure JOSEPH, Tite MIKOBİ).

La relation patient-soignant ne saurait mieux se faire sans « l'Éducation thérapeutique du patient et ses outils innovants » (Claire FALGUIÈRE, Estelle MÉCHAIN et l'équipe de FABLAB).

La nécessité du don de sang et la promotion de don du sang auprès des populations d'ascendance africaine reste un gros challenge (Marie-Claire KOFI, Françoise DRISS, Sabine GUESSANT).

Deux études ont été présentées sur la mortalité des patients (Stéphanie LUNTADILA NGIMBI, Hèzouwè MAGNANG).

Le coût de la prise en charge de la drépanocytose est un fardeau pour les familles et si parfois les ressources financières sont insuffisantes, c'est le manque de médicament qui est signalé. Cette prise en charge doit tenir aussi compte des réalités du terrain et de la représentation de la maladie (Jean-Benoît ARLET, Lucrèce DÉLICAT, Shongo Mick PONGOMBO).

Plusieurs posters ont été présentés (Khaddouj BENMOUSSA, Dieu-Merci BETUKUMESU, Edwige DEDJINOÛ, Selma GOMEZ, Ariane KETO, Gueth KUNDABI).

Le déroulement de cette 18ème édition s'est fait dans une ambiance conviviale et de partage accompagnée au fil de la musique aux Koras de nos chers musiciens Stéphanie Le Corneur et Yancouba Diébaté sans oublier le somptueux cocktail de bienvenue organisé par Madame le Maire de Strasbourg Eurométropole.

Merci à Rébecca KOKODÉ pour sa modération, Adrienne LERNER et Henri PAYRE pour la traduction et tous nos autres bénévoles.

MERCI À TOUS!!!



# Constant Vodouhê Frédéric Galactéros

Mots de bienvenue  
18ème Congrès  
International sur la  
Drépanocytose.  
DORYS Strasbourg 2023

**Dr Constant Vodouhê**  
Président du Comité  
d'organisation

**Pr Frédéric Galactéros**  
Président du Conseil  
medico-scientifique







**Son Excellence,  
Monsieur Benjamin  
Hounkpatin,  
Ministre de la Santé  
de la République du  
Bénin.**

**Benjamin Hounkpatin**

**Allocution pour  
l'ouverture du 18ème  
Congrès International  
sur la Drépanocytose.  
DORYS Strasbourg 2023**

*L'engagement du Bénin pour la  
lutte contre la drépanocytose  
pour une meilleure prise en  
charge des patients.*

**MERCI !!!**



# Rebecca Kokodé

## Modératrice

Rebecca KOKODE

CHAM Centre hospitalier à  
Amilly, Montargis



**MERCI !!!**

# Adrienne Lerner Henri Payre

## Interprètes



Adrienne Lerner  
Henri Payre  
Interprètes



**MERCI !!!**

# Dr Alexandre FELTZ

Adjoint au Maire à la santé de  
l'Eurométropole



**Dr Alexandre FELTZ**

**Adjoint au Maire à la  
Santé de  
l'Eurométropole**



**Réception organisée par le Maire de  
Strasbourg Madame Jeanne  
BARSEGHIAN représentée par le  
Docteur Alexandre FELTZ, adjoint au  
Maire à la Santé**





MERCI !!!

## Roch Hounghinin

### Vivre la drépanocytose : approche anthropologique d'une « maladie de sang » au Bénin

Maladie génétique grave, la drépanocytose est très répandue dans les pays du Sud et notamment en Afrique subsaharienne. Être atteint de cette maladie au Bénin constitue une différence souvent traduite en termes de handicap et de stigmates. La drépanocytose fait, en effet, l'objet de nombreuses représentations sociales qui interfèrent dans la prise en charge, et qui complexifient le pronostic vital des malades. C'est dans ce contexte que la présente étude a été réalisée aux fins de comprendre les bases perceptives sur lesquelles se construisent les représentations nosologiques, étiologiques et sémiologiques de la drépanocytose et de sa prise en charge à Cotonou. Il s'agit d'une enquête qualitative initiée auprès d'acteurs sociaux de différents profils. L'étude a intégré la réalisation d'une ethnographie associant la tenue d'un journal de terrain, des entretiens individuels, des observations et des captures d'images. Les différentes expériences rapportées révèlent que la prise en charge de la drépanocytose implique une diversité d'acteurs dont les thérapeutes traditionnels qui interviennent dans la gestion des crises et des complications. En l'absence d'informations médicales adéquates, cette prise en charge est souvent influencée par le groupe socio-ethnique ou religieux d'appartenance et le revenu des familles. La multitude de terminologies associées à cette « maladie de sang » et les pratiques récurrentes des acteurs sont sources d'incompréhension avec les soignants ; elles font du diabète une maladie « naturelle » mais qui relève également du registre sorcellaire et de l'envoûtement.

**Roch A. Hounghinin est professeur d'anthropologie de la santé à l'Université d'Abomey-Calavi (Bénin). Il est le directeur du Laboratoire d'Anthropologie Médicale Appliquée (LAMA). Parallèlement à sa formation de base, il a suivi de nombreux enseignements complémentaires dont les plus importants portent sur le développement de capacités d'enseignement et de recherche en bioéthique à l'École de santé publique de l'Université de Montréal (ESPUM, Canada). Depuis une vingtaine d'années, il mène des recherches sur les systèmes de santé et les politiques publiques en Afrique. Il a une expérience internationale de conduite de recherche pluridisciplinaire avec des institutions telles que : l'IRD, TDR/WHO, Gates Malaria Partnership et EDCTP. De 2010 à 2017, il a été membre du Comité d'éthique de la recherche de l'Institut des sciences biomédicales appliquées (ISBA) de Cotonou et, depuis mars 2021, il est membre plénier de l'Institutionnal Review Board (Comité d'éthique de la Recherche sur la personne humaine) de l'Institut Pasteur à Paris.**



**Dr Lucrèce Marcelline  
DELICAT ép. LOEMBET  
Président du Bureau  
Exécutif de l'ONG SCDOGα  
Franceville – GABON**

**Enseignant-Chercheur au  
département de Biologie  
de la Faculté des Sciences  
de l'Université des Sciences  
et Techniques de Masuku  
(Maître-Assistant CAMES),  
à Franceville au Gabon.  
Chercheur associé au  
département de  
Parasitologie du CIRMF  
pendant 10 ans.**

## **Lucrèce M. Délicat**

### **La Drépanocytose vu par les Gabonais.**

Bien qu'étant déclarée comme problème de santé publique, la drépanocytose reste encore un mystère pour certaines populations du continent africain comme c'est le cas pour le Gabon pays de l'Afrique centrale où elle touche une personne sur quatre sous sa forme hétérozygote et où 1,34% des naissances sont des naissances d'enfants drépanocytaires. Pendant que dans certains pays, les recherches sont axées sur la thérapie génique, les échanges transfusionnels et autres thérapies innovantes, pour les populations gabonaises le point le plus important serait de démystifier cette pathologie souvent considérée à tort comme une malédiction, un sort, un envoutement donc en un mot un problème spirituel. Il est donc indispensable pour les praticiens de mener des campagnes de sensibilisation et d'éducation afin de permettre aux personnes touchées par la drépanocytose et leurs familles d'adhérer plus facilement aux programmes de recherches et d'accompagnements médicaux mis en place.



**Dr Vincenzo VOI**

**SSD Centro**

**Microcitemie - Pediatria  
AOU San Luigi**

**Gonzaga, Orbassano**

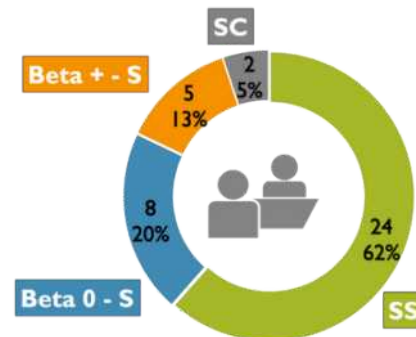
**Dipartimento di Scienze  
Cliniche e Biologiche -  
Università di Torino**

# Vincenzo Voi

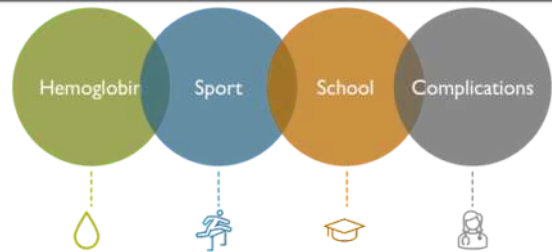
**Experiences on Quality of Life of  
our patients in our center.**



- To explore and evaluate QoL in our cohort of SCD patients
- Check possible correlations with factors
  - Social
  - Clinical
  - [...]



FACTORS INVOLVED IN OUR PERCEPTION OF QOL



**"QOL IS AN  
INDIVIDUAL  
PROCESS"  
"MENTAL"**

<b>ENDURANCE RESILIENCE</b>	"I learned that my life is periodic and continuous adjusting of my goals, my objectives and my dream"
<b>ADHERENCE SURVIVAL</b>	Potential uncovering new complications – worsening of old ones
<b>OPTIMISM</b>	Physical, mobility, peer relationships are better in younger ages Children are usually optimist, maybe it helps ...!!! "I don't like to see me sick. I prefer to manage my life thinking that I can reach what I want. I look for strategies more than solutions"
<b>CAREGIVER</b>	Poor awareness of the caregiver (depression, anxiety) PARENTAL SUPPORT LEADS TO BETTER PERCEPTION OF QOL Feeling of guilt of parents can lead misinterpretation of the emotions of their child
<b>ADOLESCENCE</b>	Specific tools to investigate the complexity



**Mme Anne Marie Sow**  
**Doctorante**

# Anne Marie Sow

## Scolarisation et Qualité de vie des élèves drépanocytaires au Sénégal en milieu scolaire, familial et hospitalier.

*Scolarisation et qualité de vie des élèves drépanocytaires en milieu scolaire*

*Scolarisation et qualité de vie des drépanocytaires en milieu familial.*

*Scolarisation et qualité de vie des élèves drépanocytaires en milieu hospitalier*

Recommandations générales

Pour améliorer la qualité de vie des personnes atteintes de drépanocytose, des actions sont nécessaires à différents niveaux.

-Niveau éducatif : Les élèves drépanocytaires ont besoin d'une éducation de qualité, avec des adaptations en classe, un soutien médical, et un environnement scolaire favorable. Des programmes de sensibilisation à la drépanocytose sont importants pour combattre les préjugés.

-Niveau familial : Le bilan prénuptial est essentiel pour les futurs parents. La sensibilisation de la famille, des amis, des employeurs et de la communauté est nécessaire pour lutter contre les stéréotypes.

-Niveau hospitalier : À l'hôpital, il faut former le personnel médical à la drépanocytose, améliorer l'accueil des patients, réduire les temps d'attente et informer sur les services disponibles.

-Niveau individuel : Les personnes atteintes de drépanocytose doivent suivre un traitement médical, maintenir leurs vaccinations, rester hydratées, éviter les facteurs de déclenchement des crises, pratiquer une activité physique, avoir une alimentation saine, se reposer, prévenir les infections, et éviter le tabac et l'alcool. Rejoindre des réseaux de soutien est également recommandé.

-Niveau social : Il est crucial de sensibiliser les leaders d'opinion, les médias et les tradithérapeutes pour combattre la stigmatisation et promouvoir une meilleure compréhension de la maladie. Une communication massive est nécessaire pour susciter une prise de conscience.

-Niveau systémique : Des politiques de santé publique doivent être mises en place pour améliorer l'accès aux soins de santé, sensibiliser la population aux risques, encourager des comportements sains, et soutenir la recherche et l'innovation dans la gestion de la drépanocytose.





**Groupe de travail  
EVAD'DONS-NOUS  
Latifatou Boukari  
Françoise Driss  
Sabine Guessant  
Maylis Lesgourgues  
Marie-Hélène Odièvre**



## **Françoise Driss Sandrine Guessant Latifatou Boukari**

**Promouvoir le don de sang  
auprès des populations afro-  
caribéennes.**

**Groupe de travail  
EVAD'DONS-NOUS**

Le groupe de travail EVAD'DONS-NOUS a réfléchi à mettre en place différentes stratégies pour sensibiliser les

populations afro caribéennes au don de sang. Ce groupe a plusieurs objectifs dans le cadre des programmes

d'éducation thérapeutique en partenariat avec EVAD (adultes) et le RoFSED (pédiatrie). Ce groupe réunit

différents professionnels de santé (drépanologues adultes et enfants, psychologues, IDE spécialisés en ETP)

anthropologues, médiateurs culturels, patients experts, donneurs experts, associations de patients. Il a ainsi

produit des textes revus et validés pour être complets, justes et compréhensibles par les patients experts.

Différents supports ont ainsi vu le jour sous l'égide de l'EFS, d'EVAD et de la Filière MCGRE tels des flyers ou

des cartes à jouer présentant des questions réponses selon le format Fake-News ou encore un courrier

d'information pour les donneurs de sang dépistés avec le trait A/S.

Les flyers ont déjà une portée nationale car ils sont distribués non seulement dans tous les centres de compétence et de référence à destination des patients et de leur famille mais également promus et distribués

lors des matchs de basket par exemple auprès des jeunes. Les sportifs de haut niveau tels les basketteurs de

Levallois ont accepté de promouvoir le don de sang par le biais d'une interview qui a fait l'objet d'un film

accessible sur YouTube.



**Marie-Claire Kofi**  
Chief Executive Officer

**Plasma of Hope | Walsall**  
[www.plasmaofhope.org](http://www.plasmaofhope.org)

**As the CEO of Plasma of Hope charity, I have the privilege of leading an organization dedicated to making a meaningful difference in the lives of individuals and families affected by sickle cell disease and thalassemia. Our mission is to provide support, resources, and hope to those facing the challenges of these genetic blood disorders.**

**CEO and Founder, Plasma of Hope Charity April 2021 – Current**

**In this role, I oversee the strategic direction of the charity, working tirelessly to raise awareness and funds to further our cause. We are committed to improving the quality of life for our beneficiaries by facilitating access to essential medical treatments, educational programs, and support services. Our team is passionate about making a positive impact in the community and collaborating with healthcare professionals, researchers, and advocates to advance the understanding and treatment of these conditions.**

# Marie-Claire Kofi

## **Empowering Lives: The Journey of Plasma of Hope Charity in Sickle Cell Advocacy**

Hello, I'm Marie-Claire Kofi, living with sickle cell disease in the United Kingdom. Originally hailing from Cameroon, my brother and I were both born with this condition among our five siblings. Despite the grim prognosis I received in my childhood, which predicted I wouldn't surpass the age of 22, I defied the odds.

Growing up my life was a constant battle against inner fears, unanswerable questions, and the looming frustration of leaving my loved ones behind at the tender age of 22. Nevertheless, I not only surpassed that age but vowed to make a difference in the lives of those born with sickle cell disease. The challenge was clear, but I didn't know where to begin.

In 2003, I relocated to the United Kingdom, where I gained access to better healthcare. However, I settled in Walsall, West Midlands, an area with little to no awareness or understanding of sickle cell disease. This lack of knowledge led to numerous complications, including a stroke, as my condition went unrecognized.

In response to the pressing need and demand, the charity, Plasma of Hope was founded in 2020. Our mission is to provide support to individuals and families living with sickle cell disease in Walsall, West Midlands.

Our ultimate objective is to raise awareness, not only within our local community but also on a broader scale, nationally and even internationally. We aspire to shed light on the multifaceted complications and mental health burdens that accompany sickle cell disease, impacting individuals and their families.

At this conference, I would be honoured to share my personal journey and how sickle cell disease has profoundly affected me, my family, and the community of Walsall. Furthermore, I would like to discuss the remarkable impact our charity has had on the lives of those living with this condition.

By collectively raising awareness of sickle cell disease, we can work together to eradicate the stigma and alleviate the suffering experienced by those affected due to a lack of awareness. Together, we can bring hope and support to individuals and families living with this challenging condition.



**Dr Françoise Bernaudin,  
Pédiatre  
Expert en greffe de la  
moelle osseuse et du  
sang du cordon au  
Centre Intercommunale  
de Créteil en France**

# Françoise Bernaudin

## Pourquoi faut-il faire la greffe chez l'enfant ?

### Spécificités de la Greffe pour Drépanocytose

- **Maladie non maligne**
- Imposant à tout moment d'évaluer la **balance bénéfice/risque**
- **GVH non souhaitable du tout**
- **Haut risque de rejet car**
  - moelle riche hyperplasique
  - patients non immunosupprimés
  - Beaucoup transfusés
- **Nécessité d'utiliser des conditionnements lourds myéloablatifs**
  - Non supportables par adultes avec atteinte d'organe
- **Greffes réservée aux enfants <16 ans ou adultes < 30 ans sans atteinte d'organe**
  - Risque GVH connu moins important < 16 ans



### 87 premiers patients greffés en France rapportés en 2007

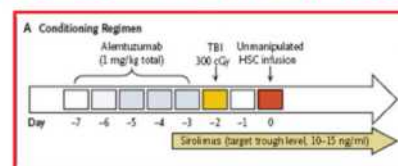
- **Amélioration résultats: Survie sans Drépanocytose depuis l'année 2000**
  - **95.3% à 5ans**



- **Faible risque du conditionnement myéloablatif: 1 seul décès en aplasie**
- **mauvais résultats des conditionnements non-myéloablatifs ds littérature FLU TBI 2Gy**
  - 7 patients 7 rejets *Iannone BBMT 2003*
- → **Décision de poursuivre avec conditionnement myéloablatif**



### 2009 Succès conditionnement non myéloablatif chez adultes



**Greffon de CSP mobilisées par GCSF**

- *Hsieh NEJM 2009+JAMA 2014*
- **Pas de GVH, pas de décès, 13% risque rejet 'reconstitution auto**
- **Confirmé à Chicago et en Arabie Saoudite** *Saraf BBMT 2015 Alzahrani BJH 2021* avec 122 patients
- **France** protocole en cours PHRC Dhedin
  - Applicable chez > 15 ans si donneur majeur (nécessité GCSF recueil CSP) en France

### Au total pourquoi les greffer jeunes ?

- **Moins de risqué de GVH** avec les conditionnements myéloablatifs
- **Préservation de la fonction splénique:** ne pas faire de splénectomie sans avoir vérifié l'existence d'un donneur HLA-identique
- Limite le cercle vicieux douleurs → addiction → difficultés sociales
- **Régression des sténoses** signifit meilleure après greffe que sous PT (Drepegrefe)
- **Préservation des fonctions cérébrales** → meilleure scolarité et insertion socio-professionnelle
- **Accompagnement par les parents**
- **Intervenir avant l'apparition des mutations décrites dans la drépanocytose**
  - A ce jour **aucun cas de LA secondaire** après allogreffe myeloablative dans la série française
- **Cryopréservation gonades** (ovaire depuis 1998 et Testis depuis 2010) ou greffe faite très jeune permettent **maternité/paternité** sans le fardeau de la drépanocytose







## **Tite Minga Mikobi<sup>1,2,3</sup>**

**Nelly Ciombo Kamuanya<sup>1,3</sup>  
Emmanuelle Ketsia Bokashanga  
Mikobi<sup>1</sup>**

**Thérèse Ilunga Kalela<sup>4</sup>  
Pierre Zalagile Akilimali<sup>5</sup>  
Prosper Tshilobo Lukusa<sup>1,2,6</sup>**

**1 Centre d'Excellence de la  
Drépanocytose, Department of  
Molecular Biology and Genetics,  
Department of Basic Sciences, School of  
Medicine, University of Kinshasa,  
Kinshasa, DRC**

**2 Center for Human Genetics, School of  
Medicine, University of Medicine,  
Kinshasa, DRC**

**3 Center of Sickle cell anemia, Institut  
de Recherche en Sciences de la santé  
(IRSS), Kinshasa, DRC**

**4 Service of ecotoxicology, department  
of the environment, Faculty of sciences,  
University of Kinshasa, Kinshasa, DRC**

**5 Department of Epidemiology and  
Biostatistics, School of Public Health,  
University of Kinshasa, Kinshasa, DRC**

**6 Genetics Unit, Neonatology Service,  
Department of Pediatrics, University  
Hospital of Kinshasa, University of  
Kinshasa, Kinshasa, DRC**

# **Tite Mikobi**

**Sickle cell anemia and pregnancy:  
Profile of hemodynamic changes in  
sickle cell pregnant women in  
Kinshasa**

**Drépanocytose et grossesse:  
profile des modification  
hémodynamiques chez les  
gestantes drépanocytaires à  
Kinshasa.**

## **Abstract**

Pregnancy is accompanied by hormonal changes. These relate mainly to progesterone and placental growth factor. Hemodynamic changes are also observed. In a sickle cell pregnant woman, all these changes have a direct effect on hypoxia. This is responsible for the polymerization of HbS. The latter causes the sickling of sickle red blood cells. Sickling of red blood cells is responsible for hemolysis and vasoocclusion, two major acute manifestations during pregnancy in a sickle cell patient.

## **KEYWORDS**

changes, hemodynamics, pregnancy, sickle cell anemia



# Fredéric Galactéros

## Les différents types de drépanocytose : spécificités, complications...



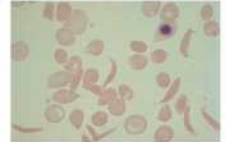
Frédéric GALACTÉROS

GHU Henri Mondor  
APHP et U-PEC  
Créteil – France

### Confirmation diagnostique: Drépanocytose

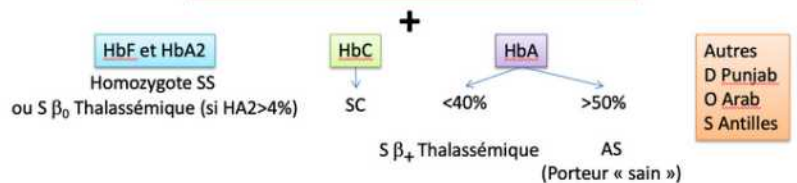
**Frottis** : Hématies falciformées (non constant car réversibilité partielle en condition oxygénée)

**Test d'Itano** : Permet de détecter la présence d'une hémoglobine S par l'apparition d'une turbidité en condition hypoxique induite



Isoélectrofocusing de l'hémoglobine et HPLC

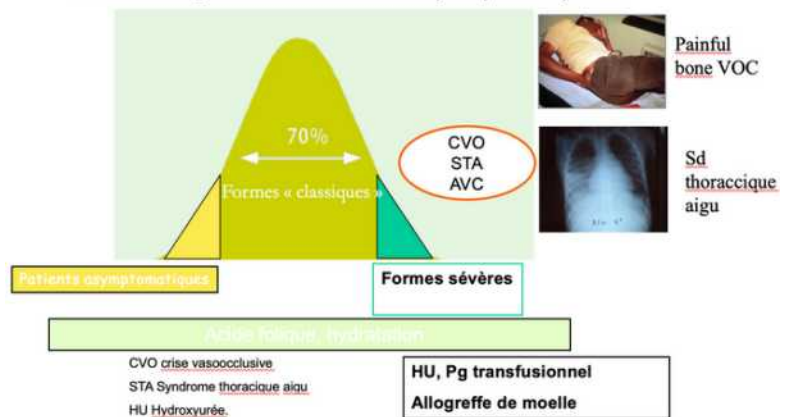
Présence d'hémoglobine S= obligatoire au diagnostic



Biologie moléculaire pour les cas douteux (AS symptomatique et autres hémoglobines) ou en vue du conseil génétique (S- $\beta_0$  Thalassémie par ex)

Attention les cas AS<sup>antilles</sup> ne sont pas porteurs sains mais drépanocytaires. La mutation associée en cis permet la stabilisation du polymère d'HbS.

### Pathologie variable et polymorphe



**Adultes SC et AVC**  
Etude multicentrique rétrospective française sur 69 patients adultes (104 épisodes d'AVC) : 57 SS, 1 S $\beta$ Thal, 10 SC, 1 S $\beta$ Thal

- L'AVC chez les SC est une complication de l'adulte, 1er épisode après 20 ans
- Incidence : SC < SS
- Type d'accident  
SS : ischémique dans l'enfance et hémorragique chez l'adulte (>30ans)  
SC : ischémique ou hémorragique sans influence de l'âge
- Récurrence : uniquement chez les SS
- Pas d'association avec une vasculopathie cérébrale.  
Facteurs de risque cardio-vasculaires.  
4/10 : antécédents de thrombose veineuse profonde et d'EP.

**La fonction splénique**

le plus souvent préservée chez les SC d'où une incidence réduite des infections à germes encapsulés comparée aux SS

MAIS  
risque plus élevé d'accident de séquestration ou d'infarctus splénique même à l'âge adulte

→ Seuls 36% des adultes SC sont aspléniques

**Intérêt de la prophylaxie anti-pneumococcique ?**

→ volume de la rate et/ou corps de Howell-Jolly et fonction splénique ne sont pas nécessairement corrélés

→ plusieurs cas rapportés de décès par sepsis à pneumocoque

**Les autres atteintes**

- Ulcère de jambe, priapisme, HTAP, lithiase biliaire : peu fréquents  
Rôle protecteur supposé de l'hémolyse modérée.
- Atteinte rénale peu fréquente et plus tardive comparée aux SS ; associée à d'autres facteurs de risque : HTA, dyslipidémie
- Nécrose aseptique épiphysaire : fréquence comparable aux SS mais d'apparition plus tardive

**Co-morbidités** - HTA essentielle → cardiopathie hypertrophique

- Dyslipidémie
- Diabète
- Surcharge pondérale voire obésité

Passad Rao Koduri, Am. J. Hematology 2001 : Etude longitudinale sur 106 SC, âge median 50 ans. Diagnostic tardif de la drépanocytose à l'âge adulte : 50%. Atteintes classiques : CVC, rétinopathie proliférante, nécrose aseptique, atteinte splénique (SSA, SS), Co-morbidités.

**Grossesse**

Graham R. Sejerst, BJOG September 2005 (112): pp. 1308-1314  
Etude cas-contrôles : 43 patientes SC (95 grossesses), 52 patientes SS (94 grossesses) et 68 contrôles AA (157 grossesses).

• Au plan obstétrical.  
Fréquence comparable aux AA pour HTA gravidique, pré-éclampsie, hémorragie  
Comparé aux SS : ↓ fausses-couches, ↓ mortalité néonatale, ↑ poids de naissance

• Des complications vaso-occlusives parfois sévères peuvent empiéter la grossesse même chez des patientes habituellement asymptomatiques

La grossesse peut être le facteur déclenchant de la 1<sup>ère</sup> manifestation VO de la maladie.

→ La grossesse est un facteur de risque d'exacerbation de la drépanocytose



# Patricia Senet

## Prises en charge des ulcères drépanocytaires.

**Dr Patricia SENET**  
**Dermatologue et vénérologue**  
**Unité de Dermatologie et**  
**Médecine vasculaire -**  
**Service de dermatologie,**  
**médecine vasculaire et**  
**allergologie -**  
**Hôpital Tenon - Paris**

### Particularités cliniques UDJ-D (1)

- Prodromes: douleurs, dysesthésies
- Rôle traumatismes minimes
- Proximité de la cheville, péri-malléolaires ± tendon d'Achille; pieds
- Superficiels
- Enduit fibrineux épais
- Douleur intense
- Réaction périostée (tibia, péroné) ≠ ostéite
- Ankylose de cheville



*Halabi-Tawil M. Br J Dermatol 2008 - Aubry F. P184; JDP 1996*

### Prise en charge locale (1)

- **Pansements:**
  - Hydrocolloïdes mal tolérés *La Grenade L. West Indian Med J 1993*
  - Alginate? Hydrocellulaires?
- **Matrice RGD: (matrice synthétique avec ac hyaluronique + Arg-Gly-Asp)**
  - RCT vs sérum phy (55 patients). % réduction surface à S10 :  $54.4 \pm 8.9$  vs  $19 \pm 24.3\%$  ( $p=0,009$ ) mais pas de différence pour cicatrisation complète (15,6 vs 39,1%)
- **Compression veineuse**

Kit Urgo K2™



Venotrain Ulcertec 39 ou 46



2 tailles selon circonférence cheville  
 Posés par l'IDE, 2 fois/semaine Gardés 24h/24

2 chaussettes superposées  
 1 blanche 10 mmHg tolérée la nuit laissée en place  
 1 assurant la pression (soit au total 39 ou 46 mmHg)

### Prise en charge locale (2)

#### Greffes cutanées



Analyse 25 patients greffés; 35 UDJ-D; 53 greffes

A J7

- diminution significative de la douleur -58% sur EVA ( $p < 0,01$ )
- diminution consommation cumulée antalgiques -30.6% pour non-opioides ( $p < 0,01$ ); -59.4% pour opioides faibles ( $p = 0,011$ ) et -42.4% pour opioides forts ( $p = 0,014$ ).

A J30

- EVA -50% (par rapport J0;  $p < 0,01$ ).
- - 30% pour non opioides faibles ( $p < 0,01$ ), -17% opioides forts (NS)
- Surface -76% (surface initiale  $22.5 \pm 34 \text{ cm}^2$ ;  $p < 0,001$ )

Cicatrisation complète à 6 mois 21/35 épisodes ulcères

### Conclusion ...

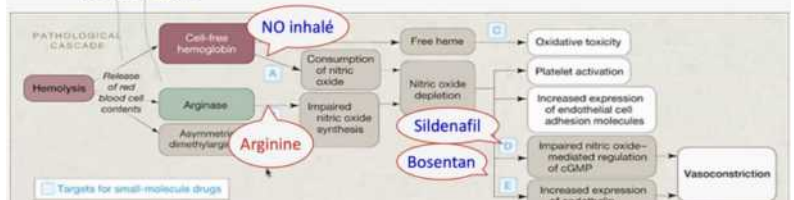
Prise en charge collaborative +++



Traitement ciblé sur l'hémolyse et la vasculopathie



Soins locaux usuels + compression veineuse  
 Thérapie cellulaire ?



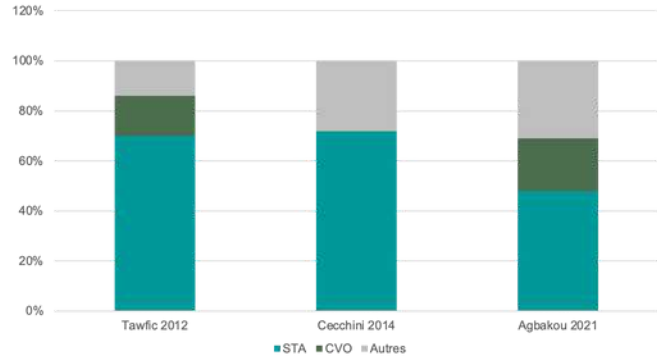


**Pr Armand MEKONTSO DESSAP**  
**MIR – CHU Henri Mondor**  
**Groupe de recherche CARMAS,**  
**Université Paris Est Créteil**

# Armand Mékontso-Dessap

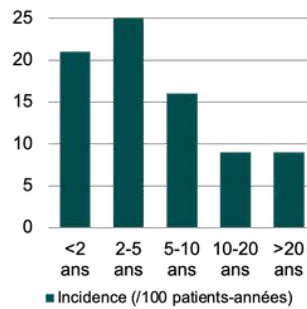
## Syndrome thoracique aigu

### Motifs d'admission en réanimation

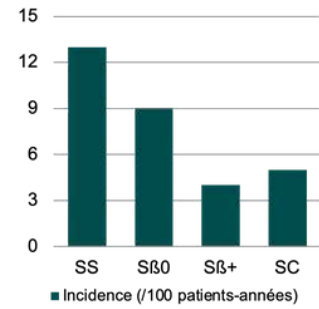


### Facteurs de risque CVO/STA

#### Jeune âge



#### Génotype SS et S-β<sup>0</sup>

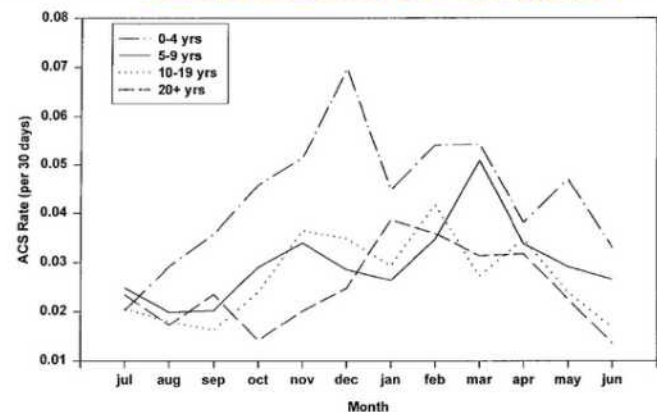


Castro, Blood 1994

### Facteurs déclenchants CVO/STA

- Le STA peut inaugurer la maladie drépanocytaire
- Près de la moitié des patients avec STA sont admis pour une autre raison
- Facteurs déclenchants classiques
  - Grossesse, postpartum
  - Chirurgie
  - Environnement

### Saisonnalité CVO/STA



Vichinsky, Blood 1997



# Gnaqui Gassama

Récit de vie sur l'addiction  
aux anti-douleurs

## Gnaqui Gassama

Patient ayant reçue une greffe







# Claudia R. Morris

## Arginine Therapy: Mounting Evidence of Safety & Efficacy for the Treatment of Pain in Children with Sickle Cell Disease

Professor of Pediatrics & Emergency  
Medicine, MD, FAAP

Wilbur Fisk Glenn Jr. Distinguished Faculty  
Chair for Clinical & Translational Research  
Emory University School of Medicine,  
Atlanta, USA, she is the Director of  
Research for the Division of Pediatric  
Emergency Medicine (PEM) at Emory and is  
also the Co-Director of the Emory +  
Children's Center for Clinical &  
Translational Research at Emory.

Dr. Morris was the first member of the  
Emory Department of Pediatrics faculty to  
be awarded a K24 Mid-career mentorship  
grant from NIH/NCCIH to support  
mentorship activities for the next  
generation of clinician-scientists. She is also  
the site PI from the San Francisco-Oakland,  
Providence, Atlanta Research  
Collaborative (SPARC) node within the  
Pediatric Emergency Care Applied  
Research Network (PECARN), that includes  
all 3 Children's pediatric emergency  
department (ED) campuses, in a network  
effort to identify best practices for the  
prevention and management of acute  
illnesses and injuries in children across the  
continuum of emergency medicine health  
care.

Dr. Morris has a long-standing interest in  
non-opioid, integrative approaches to  
pain, and is an elected Executive  
Committee member of the American  
Academy of Pediatrics Section on  
Integrative Medicine. She has studied the  
arginine-nitric oxide pathway in sickle cell  
disease (SCD), thalassemia, pulmonary  
hypertension and asthma, and holds INDs  
for glutamine, arginine and N-  
acetylcysteine for the treatment of SCD and  
thalassemia. Emory University was  
awarded an \$8.7 million grant in 2019 for  
Dr. Morris to lead the STARt (Sickle Cell  
Disease Treatment with Arginine Therapy)  
study, a multicenter phase 3 trial to  
determine the impact of arginine, a  
nutritional supplement on sickle-related  
pain in children evaluated in the  
emergency department.

Conditionally essential amino acid in dietary  
protein, the arginine is synthesized through the  
intestinal-renal axis. It becomes essential in  
stress, catabolic states & hemolysis: trauma,  
sepsis, burns, sickle cell disease, malaria, PH,  
asthma,

Found naturally in diet: meat, dairy, seafood,  
nuts, seeds, etc... The normal adult ingestion is  
2-7 grams/day.

It's a nutritional supplement with low toxicity  
and obligate substrate for NO production.

Design of the clinical assay:

- Blinded, Placebo-controlled, Phase 2 trial at 2  
hospitals in Atlanta

- L-Arginine HCL (Pfizer R-Gen) or placebo  
(normal saline) IV Q8h until d/c (max 7 days)

- Subjects are randomized into 1 of 3 arms  
(stratified for HU use):

- 1) 100 mg/kg/dose, standard dose (SD)

- 2) Loading dose (200 mg/kg X1) followed by  
SD

- 3) placebo

Blood samples obtained prior to administration  
and at discharge (SCD-VOE biorepository)

Conclusions: Arginine is a safe nutritional  
supplement, it improves mitochondrial function  
and decrease oxidative stress.

It trend to decrease of IV opioid, to shorter time-  
to-crisis resolution.

The limitation of the study: it has done in single  
center with small sample size.

Phase 3 Multi-Center Trial warranted and will  
be the next step.



## Susanna Curtis

### Use of Cannabis and Cannabinoids in People Living with Sickle Cell Disease: Current State of the Evidence

*Cannabis use is common in individuals living with sickle cell disease, and the most frequently endorsed reason for use is pain management. However, cannabis is a heterogenous agent containing multiple chemicals used in a variety of modalities and is of varying legality depending on the country. Here we will review the current state of the evidence for both the possible risks and benefits of cannabis use in individuals living with sickle cell disease.*

**Dr. Susanna Curtis is Assistant Professor of Medicine at Icahn School of Medicine and Assistant Director of the Adult Sickle Cell Program at Mount Sinai Hospital. They received their medical degree from New York Medical College, completed residency in internal medicine at Montefiore Medical Center and fellowship in hematology and oncology at Yale University where they also completed a PhD in investigative medicine. Their research focuses on understanding the role dysfunctional inflammation plays in end organ damage development in people living with sickle cell disease, particularly in the development of chronic pain, and using this to develop targeted treatments. They are particularly interested in examining the utility of cannabis and cannabinoids for treating chronic pain and are currently studying this with support from the NHLBI.**



**Pr Pierrick Poisbeau**  
**Dr Constant Vodouhê**  
**Laboratoire de Neurosciences**  
**Cognitives et Adaptatives**  
**(LNCA, CNRS UMR 7364)**

# Pierrick Poisbeau

## Projet CLUEDOL drépanocytose 2024

### Comprendre et Lutter contre la Douleur de la Drépanocytose

#### Projet scientifique

Comment ?

- Cahier d'observation électronique (eCRF) disponible sur téléphone portable permettant le suivi des malades / Recueil des données anonymisées sur un serveur HDS du CNRS (Espace réservé sur le datacenter de Strasbourg).

Avec qui?

- Malades et leurs familles
- Coordination et Promotion: C. Vodouhé & P. Poisbeau (Université de Strasbourg)
- Mise en place technique (actuellement en discussion / 3 partenaires possibles)
- Soutien Scientifique et Financier : EURIDOL Graduate School + Sociétés partenaires + Mécènes/Dons?



# Laure Joseph

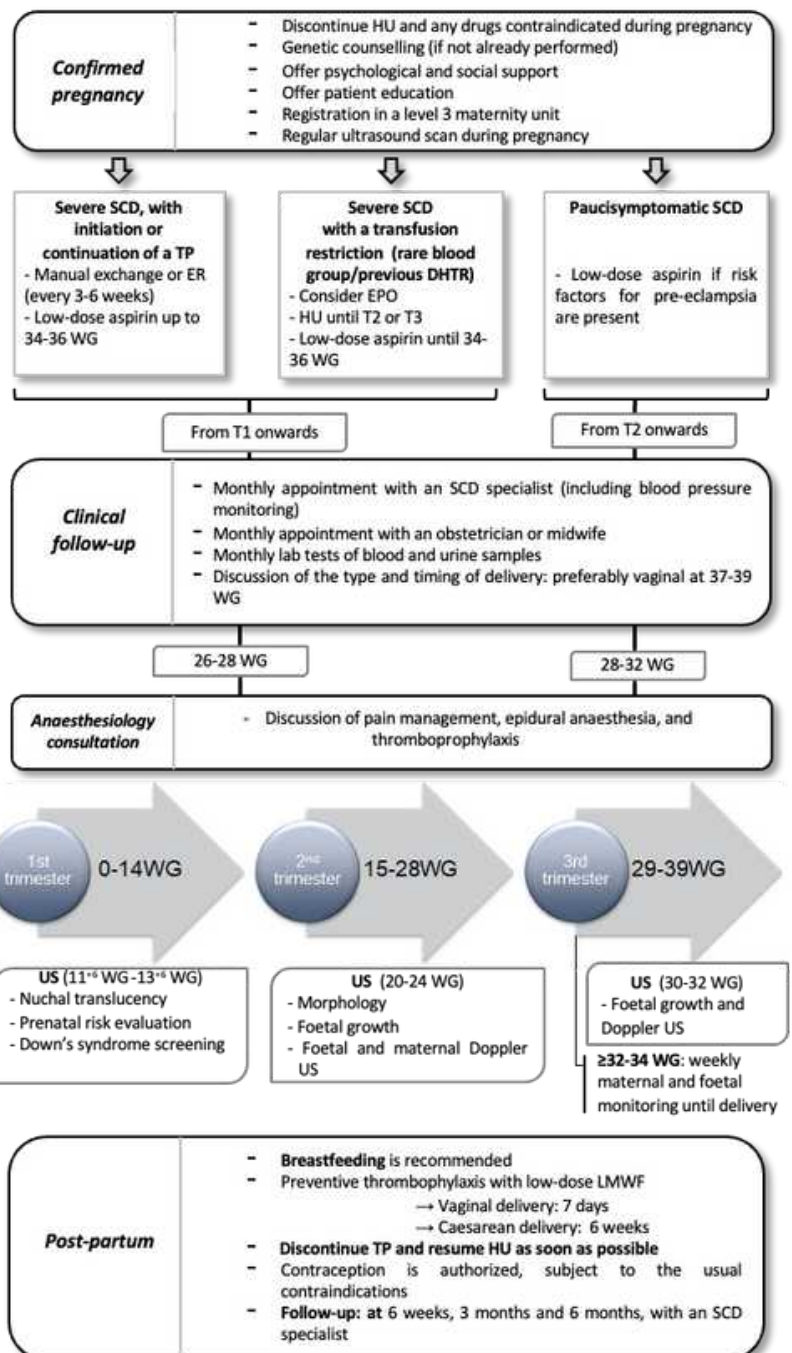
## Prise en charge de la grossesse et fertilité chez la femme drépanocytaire

### Proposition management des femmes drépanocytaires

Laure Joseph et Marine Driessen

Accepted in *Lancet haematologica* 2023

Dr Laure Joseph  
Necker  
ENFANTS MALADES  
Hôpital Universitaire







**Dr MAGNANG Hèzouwè**  
**Médecin hématologue et**  
**titulaire**

**Maître-Assistant du**  
**CAMES et enseignant**  
**d'hématologie à la**  
**Faculté des Sciences de**  
**la Santé de l'Université**  
**de Lomé.**

**Directeur du Centre**  
**National de Recherche**  
**et de Soins aux**  
**Drépanocytaires**  
**(CNRSD) de Lomé, Togo**

# Hèzouwè Magnang

## Profils clinique et biologique des drépanocytaires décédés au Centre National de Recherche et de Soins aux Drépanocytaires à Lomé du 1er janvier 2022 au 30 juin 2023

**Introduction :** Drépanocytose nombreuses complications qui touchent tous les organes

Complications = responsables de morbidité et de mortalité élevées des personnes affectées surtout en Afrique noire

Nombre de drépanocytaires meurent précocement en Afrique subsaharienne quand bien même qu'il a été prouvé que le suivi médical précoce améliore le pronostic vital du drépanocytaire.

**Matériels et méthodes :**

- Etude transversale réalisée du 1er janvier 2022 au 30 juin 2023

- Données cliniques et biologiques ont été recueillies au moment de l'admission et au cours de l'hospitalisation des patients / dossier médical et registre des patients décédés

- N'ont pas été inclus les cas de décès avant admission

- Variables étudiées = phénotype hémoglobinique, durée des symptômes, motif d'hospitalisation, résultats des examens complémentaires (hémogramme, dosage transaminases, créatinine, lactate déshydrogénase et bilirubines)

- Aggravation de l'anémie si

  - baisse du taux d'hémoglobine (THb) de 2 g/dl

  - THb < 6g/dl chez patient non suivi;

- Test Exact de Fisher a été utilisé pour la comparaison des fréquences avec un seuil de significativité pour  $p < 0,05$ ;

- Association entre mortalité et variable explicative a été faite si  $p < 0,05$ .

**Résultats :**

- 3030 patients hospitalisés au CNRSD durant la période d'étude

- 55 décès soit un taux de mortalité de 1,82%

- L'âge moyen des victimes était  $22,69 \pm 14,10$  ans; extrêmes = 1 an et 56 ans. Rapport de masculinité (H/F) égal à 1,75

- Durée moyenne d'hospitalisation avant décès = 1,67 jour; extrêmes = 0 et 7 jours

- Symptômes (CVO) 3 jours chez 34 patients (61,82%)

- 40 des 55 patients décédés (72,73%) n'avaient aucun suivi médical.

Symptômes à l'admission des patients décédés (N = 55):

- Hémoglobinurie et/ou aggravation de l'anémie = 43 (78,18%)

- Douleur ostéo-articulaire généralisée = 39 (70,91%)

- Douleur thoracique + dyspnée (STA) = 17 (30,91%)

- Hyperthermie (syndrome infectieux) = 11 (20,00%)

- Altération de l'état général = 7 (23,64%)

NB: plusieurs symptômes pouvaient être simultanément présents

**Conclusion :** Absence du suivi médical du drépanocytaire - Retard de consultation, Crise vaso-occlusive hyperalgique et généralisée - Douleur thoracique  $\pm$  dyspnée (STA) - Hémolyse / aggravation de l'anémieprofil - Hyperleucocytosebiologique défavorable.

Sensibilisation des patients ; Perspective = établir un score pronostic / calcul du score dès l'admission en hospitalisation d'un patient.



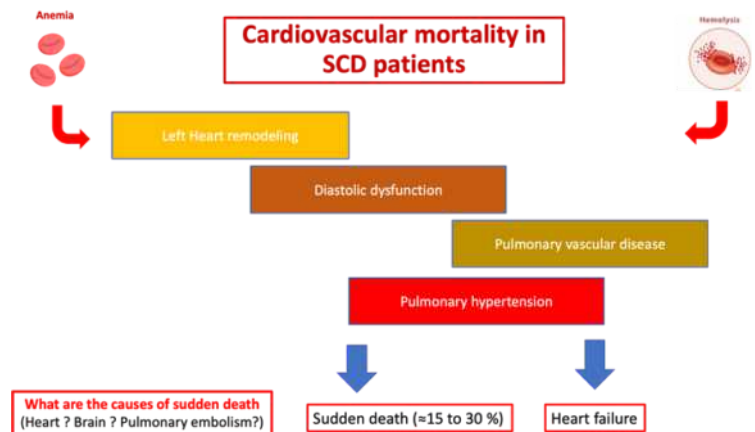
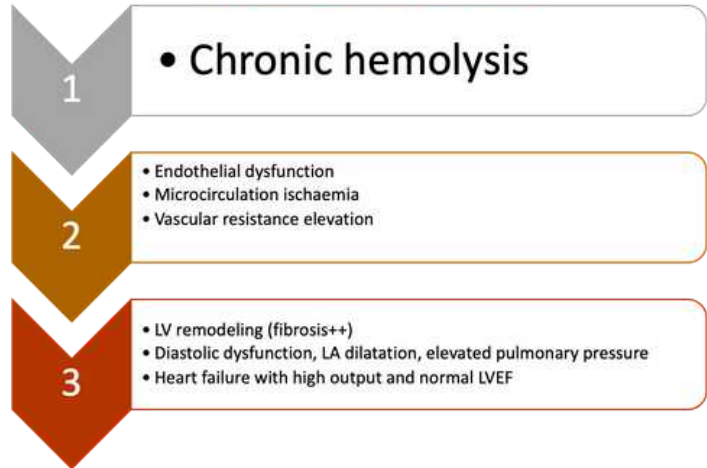
**Pr Pablo Bartolucci,  
MD PhD**

**Hôpitaux Universitaires  
Henri-Mondor  
Créteil**

# Pablo Bartolucci

**Cardiac arrhythmia in patients with sickle cell disease: a condition that should not be ignored.**  
**Troubles du rythme cardiaque chez le patient drépanocytaire : une atteinte à ne pas méconnaître.**

## To summarize



## DREPACOEUR cohort

*In-depth exploration and management of cardiovascular complications in SCD using multimodal approach  
 Launch in December 2018*

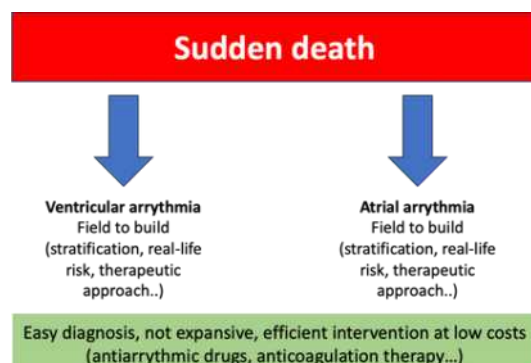


### Observational cohort

Inclusion criteria:

- Chest pain suggestive of angina.
- Aggravation of dyspnea without argument for a hematological etiology, justifying a cardio-pulmonary assessment.
- Abnormalities documented on echocardiography.
- Elevation of cardiac biomarkers (NT-pro BNP/BNP/Troponin) according to laboratory standards.
- Electrocardiographic abnormalities such as ST-segment changes, rhythm or conduction disorders.
- History of stroke with cardio-embolic etiology suspected.
- Pre-surgery assessment justifying a prior cardio-thoracic workup.

*Patients >15y and 3 month, in a steady state condition*





Anne Corbasson  
Marie Charmettan  
Walid Namaoui  
Djamal Khimoud  
Edouard Flamarion  
Adrien Michon  
Emmanuel Lafont  
Geoffrey Cheminet  
Jacques Pouchot  
Brigitte Ranque  
Jean-Benoît Arlet

Hôpital Européen  
Georges Pompidou

# Anne Corbasson

## La fatigue chez les patients drépanocytaires adultes

**Objectif** : Cette étude descriptive vise à évaluer le niveau de fatigue basale chez les patients adultes atteints de drépanocytose SS ou Sbeta0-thalassémie en utilisant le score FACIT-F.

**Méthodes** : Les données ont été recueillies prospectivement entre le 01/07/2023 et 09/09/2023 auprès de patients drépanocytaires adultes consultant dans un centre de référence à l'état stable (consultation ou hôpital de jour), à distance d'une crise vaso-occlusive (CVO). Le score FACIT-F, validé dans de nombreuses maladies chroniques, a été utilisé. Ce score, comprenant 13 questions, permet d'évaluer la fatigue perçue et sa répercussion sur l'activité quotidienne des patients. Le total peut aller de 0 (fatigue extrême) à 54 (non fatigué). Un consentement signé était obtenu pour tous les patients.

**Résultats** : 63 patients drépanocytaires majeurs ont été inclus (âge moyen  $27,7 \pm 7,9$  ans, 39 (61,9%) femmes, hémoglobine moyenne au moment de l'évaluation  $9 \pm 1,3$  g/dL). Ces patients avaient présenté en médiane une CVO hospitalisée l'année précédente (min 0-max 26) et 55 (87,3%) avaient un antécédent de syndrome thoracique aigu (STA). Quarante-huit patients (76,1%) étaient traités par hydroxyurée (dose moyenne 21,5 mg/kg/j). Le score médian du FACIT-F était de 25 (IQR 21-35) ce qui indique une perception de la fatigue modérée à intense. Seuls 15 (23,8%) patients avaient un score  $\geq 36/54$ , considéré comme le reflet d'une fatigue peu intense n'interférant pas avec l'activité quotidienne. L'hémoglobine moyenne du quartile le plus bas du score FACIT (fatigue extrême) était à  $8,4 \pm 1,1$  g/dL versus  $9,5$  g/dl  $\pm 1,2$  pour ceux du quartile supérieur du score ( $p=0,017$ ). Le score FACIT-F moyen était à  $31,6 \pm 8,3$  chez les 22 patients n'ayant pas fait de CVO hospitalisée l'année précédente versus  $24,4 \pm 8,7$  chez les autres ( $p=0,002$ ). Sur les 13 questions du score FACIT-F, "Vous vous sentez épuisé(e) ?" était celle obtenant la note la plus basse : moyenne à  $1,3 \pm 1$  sur 4 (0 « oui extrêmement », 4 « non »).

**Discussion** : Cette étude confirme que la fatigue est un élément important de la prise en charge des patients drépanocytaires, impactant leur qualité de vie. La médiane du score FACIT dans notre population à l'état stable est supérieure à ce qui a été publié chez des patients atteints d'un cancer (score à 36), d'un accident vasculaire cérébral (38,1) ou du VIH (34). Le score est proche de celle du lupus ou de la polyarthrite rhumatoïde en poussée. La cause en est probablement multifactorielle et semble refléter l'activité de la maladie et l'intensité de l'anémie.

**Conclusion** : Cette étude met en lumière la nécessité de considérer la fatigue chez les patients drépanocytaires adultes. D'autres études sont nécessaires pour mieux en préciser les déterminants. Le score FACIT-F paraît adapté à cette population et devrait être pris en compte comme critère d'évaluation d'efficacité d'études pharmacologiques.



**Élodie Fanchonna**  
**Patiente experte**

## **Élodie Fanchonna**

**Expérience de vie d'une  
patiente ayant eue une  
transplantation rénale**





# Santosh L. Saraf

## The Role of Disease Modifiers and Transplantation on Kidney Function in Sickle Cell Disease

The renal system is among the most commonly affected organ systems in children and adults with sickle cell disease. The development of chronic kidney disease impacts several aspects of health which may be particularly important in sickle cell disease, such as regulating fluid balance, erythropoietin production, acid-base balance, and blood pressure control. Furthermore, chronic kidney disease is a consistent predictor of increased morbidity and early mortality in people with sickle cell disease. This presentation will provide an overview of current methods and their limitations for monitoring kidney function, the potential effects of disease modifiers to protect against kidney disease, and the impact of kidney health on curative therapies.

**Dr. Saraf received his medical degree from the Temple University School of Medicine and completed an internal medicine residency and hematology & oncology fellowship at the University of Illinois at Chicago (UIC). Dr. Saraf joined the Division of Hematology & Oncology at UIC in 2012 and completed a Master of Science in Clinical and Translational Research through the UIC School of Public Health in 2014. He currently serves as the Director of Translational Research for the Sickle Cell Center and the Fellowship Program Director for Hematology & Oncology. Dr. Saraf focuses his clinical care and research on understanding the mechanisms of kidney disease in patients with sickle cell disease and on developing curative therapies through hematopoietic stem cell transplantation for patients with clinically aggressive sickle cell disease.**



Dr BETUKUMESU KABASELE D.M, MD  
Néphro-Pédiatre/CUK  
Kinshasa

# Dieu Merci K. Betukumesu

## Le traitement combiné Hydroxyurée-Losartan améliore la fonction rénale chez les enfants drépanocytaires en République Démocratique du Congo

### Introduction

**Complications rénales de la drépanocytose** = fréquente et facteur risque de mortalité+++

Enfants et adolescents SS : 5-18%

➤ Jeunes adultes SS : > 9 % de décès (*Sharpe CC et al, Sickle cell nephropathy 2011*)

#### PROFIL CLINIQUE

➤ Enfance : ↓[urine], **hyperfiltration**, **micro albuminurie**, **macro albuminurie**

➤ Adultes SS : **micro albuminurie**, **macro albuminurie**, ↓ DFG, IRT (*Nath KA et al , Nat Rev Nephrol 2015*) .

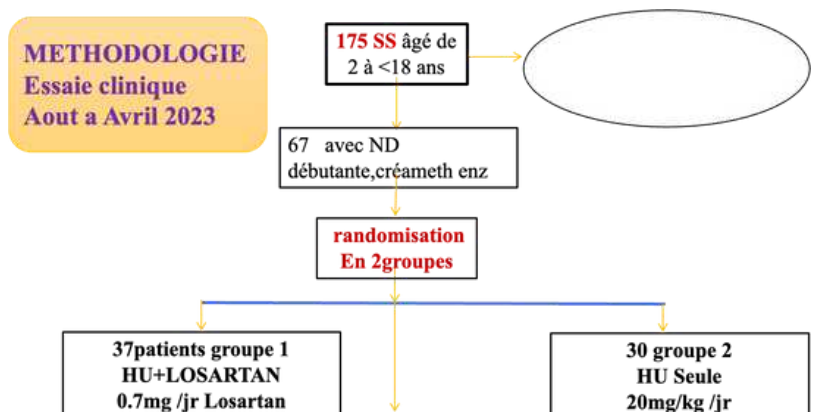
➔ dépistage et PEC précoce.... l'HU/Losartan

#### ➤ Objectif Général

Comparer l'efficacité et la tolérance de la combinaison de l'hydroxy-urée-losartan à l'hydroxy urée seule dans la prise en charge de la néphropathie drépanocytaire en RDC.

#### ➤ Spécifiques

1. Décrire les caractéristiques cliniques et biologiques générales de la population d'étude
2. Evaluer la relation entre le traitement par HU/-HU-Losartan et les marqueurs précoces de l'atteinte rénale
3. Evaluer les effets potentiels de l'Hydroxy-urée et/ou Losartan sur ND après 9 mois de traitement.





# Lanetta Bronté-Hall

## **Analysis of Quality Improvement Initiatives in Sickle Cell Disease: Survey Insights**

*Lanetta Bronte-Hall, and Joan Meyer*

This report presents the findings of a survey aimed at understanding healthcare practitioners' perspectives on managing Sickle Cell Disease (SCD). The survey collected responses from 14 participants, with six of them agreeing to one-on-one interviews. To protect confidentiality, respondents are identified as R1 to R6. The study explores reasons for seeking healthcare, routine healthcare maintenance measures, newborn screening and follow-up, management of acute chest syndrome and acute pain crises, chronic care maintenance, and the transition from pediatric to adult care for individuals with SCD.

**Lanetta Bronté-Hall, MD,  
MPH, MSPH  
Foundation for Sickle  
Cell Disease Research  
President and CEO  
Chief Research Officer  
Chief Health Officer**



# Sidonie Goore Kouamenan Olivier Héquet

## Implémentation des échanges érythrocytaires en Côte d'Ivoire

Adapter la fréquence et le volume des échanges érythrocytaires (EE) automatisés pour espacer et optimiser les procédures.  
Stratégie mise en place à EFS Lyon



**LES ECHANGES ERYTHROCYTAIRES: IMPLEMENTATION, LOGISTIQUE, OPTIMISATION**

Symposium Terumo Blood and Cell Technologies  
CONGRES DORYS, Strasbourg 13 Octobre 2023

Modération: Aïcha Bah, PhD  
Affaires Médicales

**Dr Sidonie Goore Kouamenan**  
Directeur Interim  
Centre National de Transfusion  
Sanguine, Côte d'Ivoire

**Dr Olivier Héquet**  
Service Aphérèse EHS Centre  
Hospitalier Lyon –Sud  
Président de la Société Française  
Hémaphérèse  
Inserm U111

**Aïcha Bah, PhD**  
Affaires Médicales

**Elna Korovési**  
Responsable marketing associé  
TS, EMEA  
Technologies du sang et des  
cellules Terumo  
Libérer le potentiel

**Une Mission, Un Terumo**

Apporter notre contribution à la Société par l'intermédiaire de Soins de santé

- 30,000+ associés au niveau mondial
- Fondée en 1921
- Revenus \$5.9B USD
- Au service de clients dans 160 pays

**Terumo Blood and Cell Technologies**  
Accompagner dans le monde entier les thérapies basées sur le sang et les cellules

Fondée en **1964**

Au service des clients dans **150+** pays

Notre portée **7,900** associés

**400+** distributeurs

- Siège social aux États-Unis
- 7 Sites de production
- 5 Sièges régionaux

**Terumo Blood and Cell Technologies**  
Accompagner dans le monde entier les thérapies basées sur le sang et les cellules

- Leader mondial dans le domaine des composants sanguins et de l'aphérèse thérapeutique
- Priorité émergente aux thérapies cellulaires et géniques

Centres de collecte de sang	Hôpitaux et professionnels de la santé	Thérapie cellulaire et génique Chercheurs et concepteurs	Solutions pharmaceutiques
Collecte, traitement et réduction des agents pathogènes des composés sanguins pour soutenir les thérapies transfusionnelles.	Aphérèse thérapeutique et collecte de cellules pour traiter les problèmes de santé	Technologies de production et stratégies d'intégration pour les traitements de thérapies cellulaires et géniques	Capacité de fabrication et support technique pour la fabrication sous contrat de fluides intraveineux

750000 procédures / an dont 400 000 Aphérèse thérapeutique





# Julie Kanter

## Arginine Therapy: Mounting Evidence of Safety & Efficacy for the Treatment of Pain in Children with Sickle Cell Disease

### OBJECTIVES

- Evaluate differences between old models of care for SCD and newer models of care
- Understand how a new model of care can improve outcomes in SCD
- Review ways to measure care in SCD
- Discover new standards of care in development for SCD
- We will also discuss plans for quality improvement in SCD
- Learn how to involve trainees in improving care in SCD

### WHY DO WE NEED A NEW MODEL OF CARE?

- At the individual level, it is about where you live:
  - Healthcare opportunities and insurance are state-based and even more local than that
  - Insurance may be available but ≠ access to necessary care
  - Best care often equilibrates to best advocates or knowledge or just being in the right place (luck)

**GOAL:** Shift programmatic emphasis to how to improve the system of care to enhance access and coordination of care

### SCD MANAGEMENT: LIFESPAN

- Current practice is not homogenous from pediatric to adult care
- Significant variation in practice makes it harder for people to accept changes during transition from peds to adult
- Changing the landscape of SCD means CHANGING TO A LIFESPAN APPROACH for disease management

### SUMMARY

- *Reviewed the old model of SCD treatment and how we need to move to a LIFESPAN approach*
- *We discussed how we use our SCD centers as specialized medical homes*
- *Discussed adult and pediatric SCD centers*
- *Reviewed what we know now that we did not know then*
- *How will we approach the future for people with SCD?*



Dr. Julie Kanter is a lifespan hematologist specializing in sickle cell disease. She is currently at the University of Alabama, Birmingham in the US. She is the director of the adult sickle cell disease program and co-director of the new comprehensive sickle cell research center. Prior to moving to Alabama, Dr. Kanter was an associate professor of Pediatrics at the Medical University of South Carolina where she developed the first all-ages, Lifespan Comprehensive Sickle Cell Center. Dr. Kanter is very committed to improving outcomes in sickle cell disease and ensuring those outcomes reach the affected individuals. She works closely with national partners including the American Society of Hematology, SCDAA and the NIH on both advocacy and research. Dr. Kanter is committed to working with industry and federal partners to develop new treatments for sickle cell disease. She has specific interest in gene therapy, anti-adhesion therapy and novel combination therapy to treat sickle cell disease. Dr. Kanter has NHLBI funding in dissemination and implementation to improve access to care for affected individuals. While in South Carolina, Dr. Kanter developed a statewide program (SC)2 for sickle cell disease. She is working to develop a similar model of access to care in Alabama. Dr. Kanter has authored and co-authored more than 100 articles, book chapters, and abstracts and hopes to train upcoming physicians and providers in sickle cell disease to expand the workforce for treating affected individuals.



**Agathe WAKUNGA**

**Ushindi Sickle Cell  
Victory ODV**

## **Agathe Wakunga**

**L'indispensabilité de la  
santé mentale dans la  
drépanocytose.**

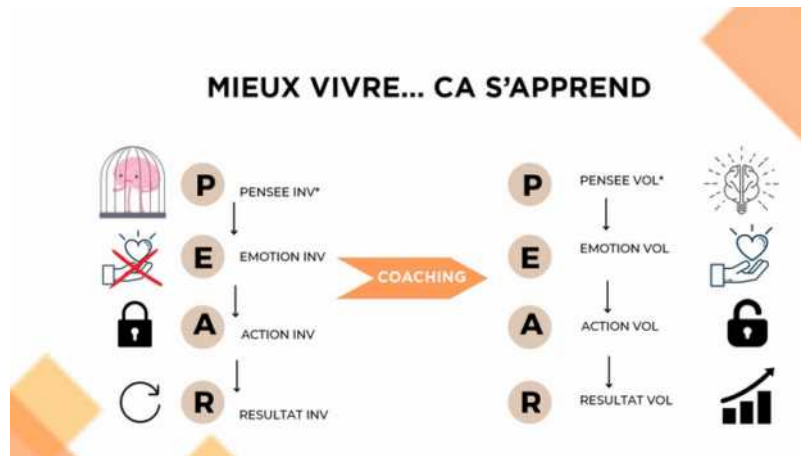
*L'expérience d'une vie  
avec la drépanocytose*



**Clara Fahy**  
**Coach en émotion**  
**certifiée**

# Clara S. Fahy

**Impacts du Coaching sur la**  
**Qualité de Vie du patient.e**  
**ayant reçu une greffe ou non.**



## Etude DrepaChange

Clara FAHY, Dr Constant VODOUHE et l'anthropologue Maria TEIXEIRA

- Objectif : Observer les effets de l'accompagnement en coaching émotionnel sur la qualité de vie des patients porteurs de la drépanocytose
- Entre 33 et 50 patients
- Suivi sur 12 semaines





## Alieu Sambou

**Impacts du Coaching sur la  
Qualité de Vie du patient.e  
ayant reçu une greffe ou non.**

*Impacts of coaching in my life.*

**Alieu Badara W Sambou**

**Founder**

**Member of The Impact  
Leaders Connect ILC**

**Servant Leadership at  
Mandela Washington**

**Fellowship for Young  
African Leaders**

**Founder and President  
Heart Beat Entertainment  
Group Kanasu Pro's**

**Founder and President  
Mboka Clothing line**





**Kalpna Gupta, PhD**  
**Professor Division of**  
**Hematology/Oncology,**  
**Department of Medicine**  
**UCI Health**  
**University of California,**  
**Irvine**  
**California, USA**

## **Kalpna Gupta**

### **Integrative Approaches Across the Lifespan for Sickle Cell Disease**

Sickle cell disease (SCD) affects individuals in resource limited communities often facing malnourishment. On the other hand, nutritional demands in SCD are much higher than normal individuals, because of increased erythropoiesis, organ damage and altered metabolism. Nutritional deficiency during pregnancy can seriously affect the health and survival of the offspring. Using mice with SCD, we found that improving the nutrition of breeder mice with sickle diet supplemented with higher vitamins, trace elements, amino acids, protein and omega 3 fatty acid, led to a significantly improved survival of male offspring up to 5 months of age, compared to the regular diet; survival of offspring improved further upon feeding them the sickle diet compared to regular diet. Mice fed sickle diet also showed a significant decrease in hyperalgesia (pain) compared to those fed regular diet. We next examined if curcumin a food supplement can ameliorate pain and improve inflammation in sickle mice. We used a transdermal curcumin gel by applying it on the skin of mice. Curcumin treated mice showed a significant decrease in mechanical and cold hypersensitivity, improved red blood cell stability, increased hemoglobin and reduced inflammation. We will discuss the use of food and food supplements to improve SCD-related outcomes throughout the lifespan.



# Claire Falguière

## FABLAB : Démonstration d'outils pour l'ETP.

Le Fablab Héphaïstos est un atelier d'innovation et de fabrication numérique au cœur de l'hôpital Bicêtre APHP. Il est dédié à la création de solutions facilitant le parcours patient et le quotidien de l'ensemble des professionnels des sept hôpitaux du groupe hospitalo-universitaire APHP. Université Paris-Saclay. Il s'appuie sur la mise en commun des connaissances et des machines numériques pilotées par ordinateur (imprimantes 3D et scanner 3D, découpeuse graveuse laser...).



Claire Falguière, MD  
Estelle Méchain



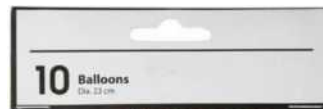
Globule rouge falciforme et sain



Antoine Grichois  
Designer fabmanager

Mathieu Eymeoud  
Designer

Quentin Abraham  
Designer





**Suzanne VERLHAC**  
Service d'Imagerie  
Pédiatrique, Hôpital  
Universitaire Robert  
Debré, Paris

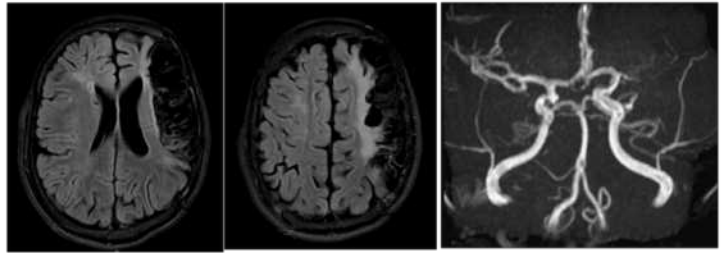
# Suzanne Verlhac

## Disponibilité du Doppler transcrânien dans le monde Etat des lieux et perspectives

L'AVC FRAPPE LE JEUNE ENFANT ET LAISSE DES SEQUELLES

**Le risque d'AVC est élevé de 11% avant l'âge de 18 ans chez les patients porteurs d'une drépanocytose SS.**

*L'AVC survient le plus souvent avant l'âge de 10 ans, et particulièrement entre 2 et 5 ans  
Il est la conséquence d'une artériopathie sténo-occlusive cérébrale*



### LE RISQUE D'AVC PEUT ETRE EVALUE PAR LE DOPPLER TRANSCRANIEN

Le Doppler étudie la vitesse du sang dans les artères qui alimentent le cerveau. Une accélération anormale du flux dans une ou plusieurs artères indique un risque accru d'AVC.

On dispose de traitements efficaces pour prévenir l'AVC : les transfusions sanguines, la greffe de moelle osseuse et l'HU

L'étude STOP menée aux USA a montré en 1998 que l'on pouvait détecter les enfants ayant un risque élevé d'AVC par le Doppler transcrânien et que les transfusions mensuelles réduisaient le risque d'un 1<sup>er</sup> AVC de plus de 90%. Adams 1992. *N Engl J Med*, Adams 1997. *Ann Neurol*

Plusieurs études de cohortes ont confirmé la remarquable efficacité de cette stratégie avec une réduction du risque à moins de 2% à 18 ans.

Depuis il a été montré que la greffe de moelle qui est à ce jour le seul traitement curatif de la maladie était aussi très efficace avec l'avantage de pouvoir arrêter définitivement les transfusions. De même l'HU a sa place dans la prévention de l'AVC, notamment par son effet sur l'anémie et la réduction des crises vasoocclusives.

La surveillance par Doppler transcrânien de tous les enfants SS est recommandé par les autorités de santé de nombreux pays.

### DTC ANNUEL DES PATIENTS SS/ S-β0 DE 2 ANS A 16 ANS

**USA. Clinical Alert: Periodic Transfusions Lower Stroke Risk in Children with Sickle Cell Anemia.** National Heart, Lung, and Blood Institute (NHLBI). September 18, 1997

**France, Haute Autorité de Santé. PND5 2010** Syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent

### Deux types de Doppler transcrânien

**Doppler pulsé dédié sans imagerie DTC dédié**

Repérage des artères par la profondeur d'enregistrement, l'orientation du flux, l'inclinaison et position de la sonde

**Avantages:** bonne sensibilité, légèreté de la sonde, cout moindre de l'appareil



**Doppler duplex couleur avec imagerie DTCC**

Repérage des artères sur la cartographie couleur des flux, puis enregistrement des flux par DP identique au Doppler sans imagerie

**Avantages:** meilleure disponibilité des machines, utilisées dans de nombreuses autres indications (abdomen, cœur, articulations...) Courbe d'apprentissage plus courte, meilleure précision anatomique, possibilité d'étudier le siphon carotidien et la portion cervicale des artères carotides internes



### PERSPECTIVES : pour améliorer la couverture DTC

Travailler en équipe. partager ses connaissances et progresser ensemble. Améliorer la prise en charge

Organiser des séances d'évaluation régulière.

Si besoin suivre une nouvelle formation





**Bernice QUENUM, MD**  
**Selma GOMEZ**  
**Edwige DEDJINOU**  
**Roukiyath AMOUSSA**  
**Manassé KAKPO**  
**Monelle GANDEGNON**

**Centre de Prise en  
Charge Médicale  
Intégrée du Nourrisson et  
de la Femme Enceinte  
Atteints de  
Drépanocytose (CPMI-  
NFED); Cotonou – BENIN.**

# Bernice Quenum

## Évaluation thérapeutique des accidents vasculaires cérébraux chez les drépanocytaires de 2013 à 2023 au Bénin

**Introduction** : La drépanocytose représente la première cause d'Accident Vasculaire Cérébral (AVC) chez l'enfant en dehors de la période néonatale. Cette complication neurologique est responsable chez les patients, de séquelles invalidantes et parfois irréversibles.

**Objectif** : Évaluer sur le plan clinique et thérapeutique la prise en charge des AVC chez les drépanocytaires au CPMI-NFED.

**Méthodes** : Il s'agit d'une étude rétrospective descriptive réalisée de 2013 à 2023, chez des patients drépanocytaires régulièrement suivis au CPMI-NFED et ayant fait au moins un AVC documenté.

**Résultats** : Sur une série de 44 patients répertoriés, 95,4% homozygotes SS et 4,6 % hétérozygotes SC. L'âge moyen à la survenue du 1er AVC était de 14 ans  $\pm$  8ans. Le diagnostic clinique a été confirmé par le scanner dans tous les cas. L'IRM a été réalisée dans 11,4% des cas. Le mécanisme est ischémique chez 72,7 % patients. L'échographie doppler transcrânienne a été réalisée chez 13,6 % des patients. En plus du traitement médicamenteux, tous les patients ont bénéficié d'une rééducation fonctionnelle. 11,4 % d'entre eux ont bénéficié d'un échange transfusionnel automatique avec le TEROMO BCT Spectra Optia FA 38. 70,6 % des patients ont retrouvé une mobilité partielle à la marche.

**Conclusion** : L'AVC est la complication aiguë de la drépanocytose responsable d'un handicap. Sa prévention passe par la réalisation précoce et systématique du Doppler Transcrânien (DTC) et permet de réduire son incidence.

**Mots clés**: drépanocytose, d'Accident Vasculaire Cérébral, L'échographie doppler transcrânienne.





## Chloé Gerber, MD

Hôpital de Hautepierre -  
Hôpitaux Universitaires  
de Strasbourg

# Chloé Gerber

## Allogreffe intra-familiale et Drépanocytose : 15 ans d'expérience pédiatrique au CHU de Strasbourg

- Problématique de la morbi-mortalité de la drépanocytose qui reste élevée.
- Seul traitement curatif = allogreffe.
- Survie globale et survie sans récurrence après greffe intra-familiale : 90%
- **OBJECTIF** : présenter l'expérience à Strasbourg de l'allogreffe intrafamiliale chez les enfants drépanocytaires sur une période de 15 ans.

### Matériel et méthodes

- Enfants et jeunes adultes jusqu'à 19 ans
- Greffe de moelle et/ou de cordon
- Période fin 2006 – début 2022

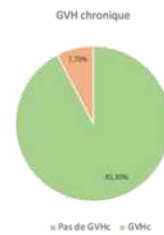
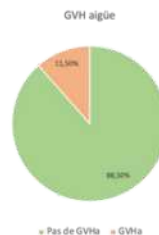
Au total : 26 patients

### Résultats

- Âge médian à la greffe : 8,5 ans (4-19)
- Indication de greffe : 11 sur 26 patients greffés pour vasculopathie cérébrale soit 42% (autres indications pour CVO multiples, STA, programme transfusionnel...).
- 92% (24 des 26 patients) des patients ont reçu une greffe géno-identique avec conditionnement par BUSULFAN et CYCLOPHOSPHAMIDE.
- 2 autres patients ont reçu une greffe haplo-identique.
- 3 greffes avec cordon seul (11,5%) ; 2 greffes avec moelle + cordon (7,5%) et 21 greffes moelle seule (81%).
- Prévention de la GVH par CICLOSPORINE et METHOTREXATE pour la majorité des patients.

### • Focus sur les complications :

Complications	Pourcentages
Bactériennes	38% (10/26)
Réactivations virales	85% (22/26)
Fongiques	15% (4/26)
Mucites	50% (13/26)
Evènements neurologiques	11,5% (3/26)
<b>GVH aigüe</b>	<b>GVH chronique</b>
3 des 26 patients	2 des 26 patients (10 et 14 ans)
11,5%	7,7%
2 grade 2 et 1 de grade 4	Oculaire (limitée), digestive (résolue)



### • Focus sur les 2 greffes haplo-identiques :

	19 ans	16 ans
Sexe	F	F
Indication	Vasculopathie cérébrale	Vasculopathie cérébrale
Conditionnement	BUSULFAN, ENDOXAN, FLUDARABINE, THIOTEPA + TBI (2Gy)	THIOTEPA, FLUDARABINE, ENDOXAN + TBI (2Gy)
Prévention GVH	SIROLIMUS + CELLCEPT	SIROLIMUS + CELLCEPT
Complications	GVHa digestive (II) Pas de GVHc Complications infectieuses +++ dont 2 méningites à pneumocoque à distance de la greffe	Pas de GVHa Pas de GVHc Absence de complication majeure

#### Discussion

- Excellente survie après greffe
- Peu de complications immédiates (peu de GVH notamment)
- Majorité des chimérismes sont donneurs complets
- Il semblerait que plus les enfants sont greffés tard, plus ils risquent de présenter des complications (accumulation comorbidités de la maladie) mais non démontré dans notre population.
- Suivi prolongé qui reste difficile à mettre en place (absence de doléance fonctionnelle à distance de la greffe)
- Enjeu de la fertilité

# Charlotte Nazon

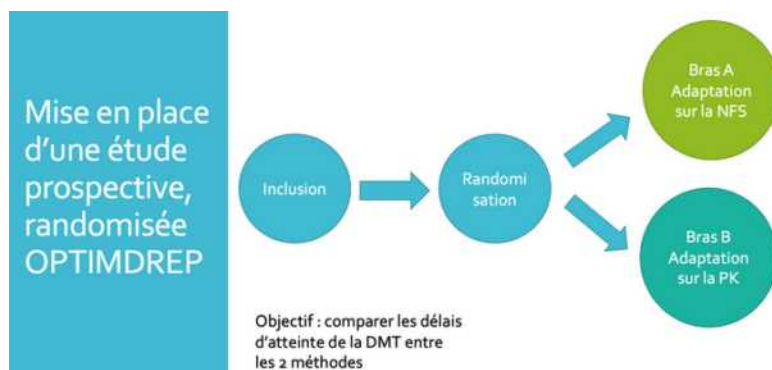
## Etude OPTIMDREP : Optimiser la prise en charge des patients drépanocytaires sous hydroxyurée : l'intérêt du suivi thérapeutique pharmacologique.



**Dr Charlotte Nazon,  
Pr Catherine Paillard**  
Service d'onco-hématologie pédiatrique, CHU de Strasbourg

**Dr Murielle Rondeau-Lutz, médecine interne,  
CHU de Strasbourg**

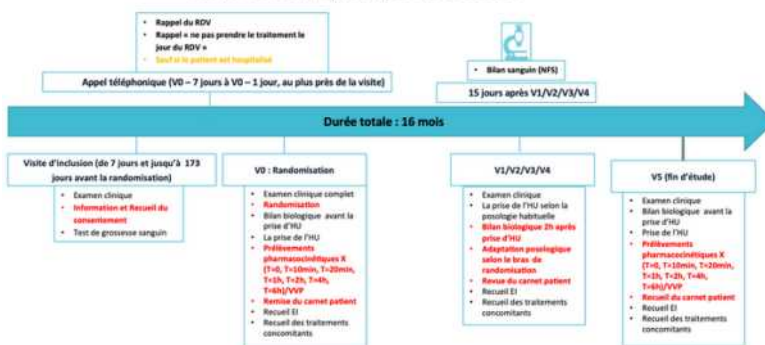
**Naomie Sabo,  
Véronique Kemmel**  
Laboratoire de biochimie, CHU de Strasbourg



### Critères d'inclusion

- Patient entre 2 et 35 ans.
- Génotype drépanocytaire : HbSS.
- Sujet ayant été hospitalisé pour CVO dans les 3 derniers mois chez qui le traitement par HU est à initier et/ou dont le traitement n'est pas équilibré ou inférieur à 30 mg/kg indépendamment de l'ancienneté du traitement
- Initiation d'un traitement par HU chez un patient nécessitant une intensification thérapeutique
- Patient hospitalisé (ex : crise vaso-occlusive) et/ou dont le traitement par HU est non équilibré (DMT non atteinte)

### Déroulement pratique de l'étude



### Premiers résultats

- Dans le groupe A : augmentation de 20 à 30%
- Dans le groupe B : augmentation de 18 à 100%
- Moyenne de posologie à 25mg/kg dont un du groupe B à 33mg/kg (vs 17)
- Parmi les 3 qui ont déjà eu l'adaptation posologique à V1 et leur V2 : 2 groupe A, 1 groupe B
- Le patient du groupe B a déjà atteint sa DMT
- Objectif : 10 patients dans chaque bras



### Conclusion

- Hydroxyurée : médicament majeur de l'intensification thérapeutique
- Nécessité d'optimiser la prise en charge
- Pharmacocinétique : médecine de précision pour une dose optimale personnalisée
- On en reparle dans 1 ou 2 ans !



# Jean-Benoît Arlet

## Utilité d'un dispositif d'illumination des veines pour la reperfusion de patients drépanocytaires en crise : étude randomisée bicentrique.

**Contexte** : La perfusion des patients drépanocytaires hospitalisés est souvent indispensable pour l'hydratation, l'antalgie ou les transfusions. Du fait des multiples hospitalisations, le capital veineux se détériore. Trouver une voie d'abord devient un sujet de préoccupation pour les équipes soignantes et source de stress et de douleur supplémentaire pour les patients. AccuVein est un outil d'illumination veineuse infrarouge très simple d'utilisation qui permet de cartographier les veines sans avoir besoin de toucher la peau du patient.

**Méthode** : Étude bi-centrique interventionnelle randomisée (PHRIP 2017, avis favorable CPP). Tout patient drépanocytaire majeur hospitalisé pour une CVO (hors syndrome thoracique) et devant être reperfusé en cours d'hospitalisation était, après recueil de son consentement éclairé, randomisé en 2 groupes : perfusion avec l'aide d'AccuveinV400® (bras A) ou selon la procédure habituelle (bras B). La randomisation tenait compte du nombre de crises hospitalisées l'année précédente ( $\geq 3$ ,  $< 3$  CVO). Le critère de jugement primaire était le nombre de tentatives de perfusion jusqu'à l'obtention d'un reflux veineux. Les critères secondaires comprenaient notamment le temps de reperfusion, la satisfaction de la procédure par le patient et l'infirmière (échelle de Likert de 1 à 5).

**Résultats** : Cent-vingt six patients drépanocytaires d'âge moyen 27,5 ans [IQR 21,2;33 ;8] ont été randomisés (65 dans le bras A et 61 dans le bras B). Les femmes (60,3%) et le génotype SS ou S-beta0 thalassémie (84%) étaient majoritaires. Les caractéristiques des patients étaient bien équilibrées entre les groupes et le nombre de CVO médian l'année précédant la crise actuelle était de 3 dans les 2 groupes. Le nombre moyen de tentatives de reperfusion était de 2,8 +/- 2,1 (bras Accuvein) vs. 3,1 +/- 2,3 (procédure habituelle) (P=0,35). Le temps moyen avant d'obtenir une voie d'abord veineux performante était de 14,9 +/- 17,7 min dans le bras A vs. 16,3 +/- 14,9 dans le bras B (P=0,63). Il n'y avait pas non plus de différence sur la satisfaction du patient ou de l'infirmière entre les groupes. Seule la douleur liée à la procédure de ponction était significativement diminuée dans le groupe AccuVein (EVA médiane à 2,5 [IQR 1;5] vs 4 [2;6] (P=0,03).

**Discussion et conclusion**: Cette étude démontre que la machine d'illumination des veines AccuveinV400® n'apporte aucune aide pour la reperfusion des patients drépanocytaires adultes. L'étude permet pour la première fois de chiffrer le temps moyen de reperfusion de ces patients régulièrement hospitalisés, bien au-delà des 2 à 5 minutes habituelles après la pause du garrot. D'autres outils comme l'échographie devraient être étudiés même s'ils demandent un apprentissage plus complexe. Une réflexion sur l'épargne des ponctions veineuses devrait être aussi menée chez ces patients dès l'enfance. Il faut certainement être plus économe en prise de sang et réévaluer le bénéfice /risque d'une reperfusion selon l'état du patient.

**Eric Fischer, Anne Corbasson, Aurélie Vilfaillot, Ana Bento da Costa, Marie Charmettan, Maria Ferreira, Carole Barthélémy, Walid Namaoui, Djamel Khimoud, Anabelle Beaudouin, Liliane Berkani, Constance Guillaud, Medhi Khellaf, Edouard Flamarion, Adrien Michon, Emmanuel Lafont, Geoffrey Cheminet, Jacques Pouchot, Gilles Chatellier, Brigitte Ranque, Jean-Benoît Arlet**

**Service de médecine interne, centre de référence de la drépanocytose Adulte, Université Paris-Cité, Hôpital européen Georges-Pompidou, APHP, 20-40, rue Leblanc, 75908 Paris Cedex 15**

**Unité de Recherche Clinique (Inserm CIC-EC1418) Hôpital européen Georges-Pompidou, APHP, 20-40, rue Leblanc, 75908 Paris Cedex 15**



**Professeur Narcisse ELENGA**  
**CID, Centre Hospitalier**  
**Andrée Rosemon**  
**Cayenne, Guyane**

# Narcisse Elenga

## Sexual experiences of people with sickle cell disease : a descriptive study

### Methods

- Study design: descriptive study
  - Study setting: reference centre for SCD, located in the Cayenne hospital, 800 sickle cell patients monitored
  - Questionnaire
  - 24 anonymous, self-administered-multiple-choice questionnaire on sexuality, in SC patients between the ages of 18 and 60
  - Response time varied from 5 to 15 minutes depending on the individual
  - Questionnaire designed with the participation of "Drépaguyane", a sickle cell disease association in French Guiana
  - The aim of this questionnaire was to describe the difficulties encountered by SC patients in their sexual life
  - Patients were informed of the existence of this study by means of a notice posted at the reference centre and by the Drépaguyane association
  - The questionnaire was then given to the patient during a consultation or a patient education session
- ### Ethical considerations
- Patients gave their informed consent to participate in this study
  - The study was approved by the hospital ethics committee

### Results: patients sociodemographic characteristics

- A total of 30 patients anonymously completed the questionnaire
- 17 women and 13 men
- Mean age 30.5 years [23-41], 19 SS, 8 SC and 3 S-beta-thalassemia patients
- 3/4 of patients attended high school and one-third university
- 3/4 of patients had a job in the tertiary sector
- Only half of the patients lived with a partner and had between 1 and 5 children

### Results: patients characteristics

- Half of the patients covered by conventional social security
- Half of patients living in precarious conditions
- Half were of foreign origin
- 1/3 lived in an apartment and 1/3 in a hostel
- Half had their own means of transport

### Conclusion

- Our findings support the sexual and relationship problems that some people with SCD may experience
- Due to the lack of information on this aspect of the disease, our study reports our current experience on this topic
- However, the international community needs to quickly explore the possibility of increasing the level of information on this topic through fact sheets based on published studies





# Constant Vodouhe

**Place des traitements non médicamenteux. Activités Physiques Adaptées : cas de la Guyane.**

**Constant VODOUHE, PhD**  
Strasbourg - France  
Cayenne - Guyane  
Cotonou - Bénin

**Pr Narcisse ELENGA**  
Hôpital de Cayenne

**Association DREPAGUYANE**



*Mise au repos*  
*Prise de la saturation et de la tension*



**Paul ZEPHIRIN**  
Médecin cardiologue  
Clinique Saint-Paul,  
Cayenne





**Ifeyinwa (Ify) Osunkwo MD, MPH**  
**Currently VP and Chief Patient Officer Novo Nordisk Rare Disease, an employee of Novo Nordisk**  
**Professor of Medicine & Pediatrics**  
**Maya Angelou Center For Health Disparities**

- Ifeyinwa (Ify) Osunkwo is currently VP and Chief Patient Officer Novo Nordisk Rare Disease, an employee of Novo Nordisk
- Dr Ify was founding Director of the SCD Enterprise at Atrium Health's Levine Cancer Institute, Charlotte NC and Director of Comprehensive SCD program Childrens Healthcare of Atlanta, Egleston Campus, Atlanta GA
- She has 30+ years clinical, research, advocacy and public health lived experience in SCD (USA / Africa)

# Ify Osunkwo

## What does "GOOD" Sickle Cell Care Look Like?



Today we want to...



Every warrior is human, has a body, mind, spirit and lives in a society



Why are clinical trials important?







# Jean-Benoît Arlet

## Disponibilité et coût des traitements de base de la drépanocytose dans 13 pays Africains

**Méthodes:** Enquête internationale en ligne réalisée du 24 mars au 8 mai 2023 auprès de professionnels de la santé des pays d'Afrique subsaharienne francophones suivant des patients drépanocytaires et inscrits dans la base de données de l'ONG Drep-Afrique. Les participants ont répondu à des questions portant sur la disponibilité [sur une échelle de 0 (médicament non disponible) à 10 (aucune préoccupation de disponibilité)] et le coût des médicaments de base dans leurs centres : HU, pénicilline V, acide folique, morphine et vaccins.

**Résultats :** Cent-vingt professionnels de santé, principalement des médecins (91 %), provenant de 13 pays d'Afrique subsaharienne ont participé à cette étude. Soixante pourcents travaillaient dans des centres de référence de la drépanocytose ; 55 % dans des hôpitaux universitaires ; 81% dans de grandes villes. 91 000 patients drépanocytaires homozygotes étaient suivis dans les centres participant à l'étude et 35% des centres déclaraient suivre plus de 1000 patients. Les scores médians de disponibilité de l'hydroxyurée et de la morphine étaient respectivement de 5 (IQR 3-8) et de 5 (IQR 2-7), comparés à 10 (IQR 10-10) pour l'acide folique, 8 (IQR 4-10) pour la pénicilline V, 3 (IQR 1-8) pour le vaccin anti-pneumococcique et 5 (IQR 2-8) pour le vaccin anti-méningococcique. Des interruptions fréquentes de la chaîne d'approvisionnement ont été déclarées : 78 % pour l'HU, 77 % pour le vaccin anti-pneumococcique, 66 % pour la morphine, 45 % pour la pénicilline V, tandis qu'elles étaient rares pour l'acide folique (8 %). Le prix médian mensuel déclaré de l'HU pour un enfant de 30 kg (dose moyenne de 20 mg/kg/jour) était de 19,3 \$ (IQR 13,5-25,3) et variait considérablement selon les pays (de 38 \$ en Guinée à 10,1 \$ au Togo ;  $p=0,0002$ ). Le prix médian du vaccin anti-pneumococcique était de 35,3 \$ (IQR 16,9-58,7) et celui du vaccin anti-méningococcique de 31,4 \$ (IQR 11-57,5), avec également des différences importantes entre pays. Le coût du vaccin anti-pneumococcique était 1,6 fois plus élevé dans les centres déclarant des ruptures fréquentes d'approvisionnement que ceux où la disponibilité était stable ( $p=0,02$ ).

**Conclusion:** Il est urgent de diminuer le coût des traitements de base de la drépanocytose, particulièrement celui de l'hydroxyurée et d'améliorer le circuit de distribution de quelques médicaments essentiels dans les pays touchés massivement par la drépanocytose. Il nous semble fondamental que la solidarité internationale incite et aide les gouvernements des pays concernés à agir dans ce but, qui semble d'autant plus atteignable que ces médicaments sont génériques et peu coûteux. C'est une question d'éthique médicale.

Gladys Kelly Keza, Dapa Aly Diallo, Ibrahima Diagne, Mariane de Montalembert, Anne Corbasson, Françoise Bernaudin, Brigitte Ranque, Binta Coulibaly, Galacteros Frederic, Saliou Diop, Constant Vodouhé, Olivier Hermine, Agnès Lainé, Eléonor Kafando, Ahoefa Vovor, Suzanne Belinga, Sébastien Jan, Leon Tshilolo, Robert Hue, Jean-Benoît Arlet, Université Senghor Alexandre, Egypte, Alexandrie, Egypte ; Centre de Recherche et de Lutte contre la Drépanocytose, Bamako, Mali ; Université Gaston Berger, Saint Louis, Sénégal Service de pédiatrie générale, Hôpital Necker, APHP, Paris ; Service de pédiatrie générale, Hôpital Intercommunal de Créteil, France ; Department of internal medicine, French sickle cell disease referral center, Hôpital européen Georges Pompidou, AP-HP, Paris, France Fresenius Kabi compagny, Francfort-sur-le-Main, Germany ; Sickle Cell Referral Center, Henri-Mondor University Hospital- UPEC, AP-HP, Creteil, France ; Centre de transfusion sanguine de Dakar, centre de la drépanocytose, Dakar, Sénégal; Association DORYS, Strasbourg, France ; Service d'hématologie, hôpital Necker, AP-HP, Paris, France Institut des mondes africains, Aubervilliers, France; Department of History of biology, UFR des sciences de la santé de l'Université Joseph Ki Zerbo ; Ouagadougou, Burkina Faso ; Faculty of health sciences, Lomé, Togo ; Centre Pasteur du Cameroun, Yaoundé ONG DrepAfrique, Paris, France ; Centre Hospitalier Monkole, Kinshasa, Congo RDC ; ONG DrepAfrique, Paris, France; Department of internal medicine, French sickle cell disease referral center, Hôpital européen Georges Pompidou, AP-HP, Paris, France



**Manassé KAKPO, MD**  
**Edwige DEDJINOU**  
**Selma GOMEZ**  
**Roukiyath AMOUSSA**  
**Monelle GANDEGNON**  
**Bernice QUENUM**

**Centre de Prise en  
Charge Médicale  
Intégrée du Nourrisson  
et de la Femme Enceinte  
Atteints de  
Drépanocytose (CPMI-  
NFED) ; Cotonou –  
BENIN**

# Manassé Kakpo

## Diagnostic et prise en charge de l'ostéoarthrite chez les enfants drépanocytaires de 2021 à 2023 au CPMI-NFED.

**Introduction** : L'ostéoarthrite est l'une des complications infectieuses de la drépanocytose.

**Objectif** : Décrire le profil clinique et paraclinique de l'ostéoarthrite et en évaluer la prise en charge chez les enfants atteints de drépanocytose au CPMI-NFED de Cotonou en 2023.

**Cadre et méthode** : Il s'est agi d'une étude transversale, descriptive et rétrospective réalisée de 2021 à 2023 chez des enfants de 2 à 15 ans drépanocytaires admis pour le diagnostic d'ostéoarthrite.

**Résultats** : Nous avons colligé 28 dossiers d'enfants d'un âge moyen de  $6,8 \pm 4,1$  ans, avec un sex ratio de 2,5. Le phénotype SS était de 85%. La douleur articulaire et osseuse était retrouvée chez tous les enfants ; 92,8% présentaient une fièvre et 96,4% ont des signes inflammatoires locaux. La localisation aux membres thoraciques était de 89,2% et 82,1% aux membres pelviens. Un autre foyer infectieux était associé dans 60,7% des cas. La Protéine C-Réactive était élevée avec une moyenne de  $199,4 \pm 105$  mg/l et la vitesse de sédimentation était accélérée chez 92,5%. La radiographie était normale dans 47,8%, une lyse osseuse est retrouvée dans 43,4% et une collection intra-auriculaire dans 7,1% à l'échographie. La prise en charge comprenait une double antibiothérapie chez 100% des enfants, une immobilisation plâtrée chez 60,7% et une hospitalisation (46,4%). La guérison sans séquelles était observée dans 89,7% des cas. Certaines complications à type de fistulisation à la peau (3,6%) et une fracture pathologique (14,3%) ont été observées. Tous les enfants ont bénéficié d'une kinésithérapie.

**Conclusion** : L'ostéoarthrite est une complication infectieuse et invalidante chez les enfants drépanocytaires. L'antibiothérapie adaptée associée à la kinésithérapie permet une évolution favorable.

**Mots clés** : drépanocytose, ostéoarthrite, enfants.





**Lucrèce DELICAT Ép.  
LOEMBET (Gabon), PhD**  
**Shongo Mick  
PONGOMBO, MD**



**Agathe WAKUNGA  
(Italie – RDC),  
Leyla Aïssa HAMIDOU  
(Nyamey - Niger),  
Lucrèce DELICAT Ép.  
LOEMBET (Gabon),  
Jean-Benoît ARLET,  
(Paris – France),  
Shongo Mick  
PONGOMBO  
(Lumbumbashi - RDC),  
Hèzouwè MAGNANG  
(Lomé - Togo),  
Ify OSUNKWO (USA),  
Constant VODOUHE  
(France - Bénin)**

## Table ronde

### Accessibilité aux soins dans les pays du Sud.

- *Représentation de la maladie en RDC, Gabon*
- *Difficulté de prise en charge en RDC, Gabon*

# Monelle Gandégnon

## La rétinopathie drépanocytaire chez les patients suivis au CPMI-NFED, de 2013 à 2023.

**Introduction :** La rétinopathie drépanocytaire est une complication chronique liée aux phénomènes vaso-occlusifs.

**Patients et méthodes :** Il s'agit d'une étude rétrospective longitudinale, descriptive sur une période de 10 ans, incluant des patients régulièrement suivis au CPMI-NFED et chez qui une rétinopathie a été diagnostiquée.

**Résultats :** sur la période d'étude, 22 patients ont été diagnostiqués porteur de rétinopathie. 95,4% présentaient une rétinopathie proliférante. L'âge moyen était de 26 ans avec des extrêmes de 14 et 36 ans. Le sexe ratio H/F est de 4,5 (18/4). On note une prédominance des rétinopathies proliférantes chez les patients de phénotype SC (71,4%) et 28,6% de phénotype SS. La découverte de la rétinopathie était fortuite, lors d'un examen de fond d'œil (FO) systématique (66,7%). L'examen du FO a été complété dans tous les cas par une angiographie à la fluorescéine. Sur un total de 27 lésions oculaires objectivées, la localisation était unilatérale droite dans 47,6%, gauche dans 23,8% et bilatérale dans 28,6%. Nous avons observé 7 lésions de stade 1 de Goldberg, 9 de stade 2, 9 de stade 3, une de stade 4 et une de stade 5. Un traitement par photocoagulation au laser d'Argon a été réalisé chez tous les patients présentant un stade 2 complété par la chirurgie chez ceux qui avaient un stade 4 ou 5. Une note familiale est découverte pour deux fratries, l'une de quatre enfants tous SC ayant tous présentés des rétinopathies de stade 2 à 4, l'autre de deux enfants tous SS ayant présentés des rétinopathies de stade 2 à 5.

**Conclusion :** Les formes graves de rétinopathies ne sont pas que l'apanage des sujets de phénotype SC. Un suivi régulier de la drépanocytose, avec un dépistage systématique par le fond d'œil permet le diagnostic précoce de la rétinopathie drépanocytaire.  
**Mots clés :** drépanocytose, rétinopathie, fond d'œil.



**Monelle GANDEGNON, MD**  
**Edwige DEDJINOU**  
**Selma GOMEZ**  
**Roukiyath AMOUSSA**  
**Manassé KAKPO**  
**Bernice QUENUM**

**Centre de Prise en Charge  
Médicale Intégrée du  
Nourrisson et de la Femme  
Enceinte Atteints de  
Drépanocytose (CPMI-  
NFED) ; Cotonou – BENIN.**



# Esther Pepple Olomemen

## Navigating Sick Cell Care, Crisis and Loss

Esther Pepple Olomemen

CEO/Founder Sick Cell Society Ireland

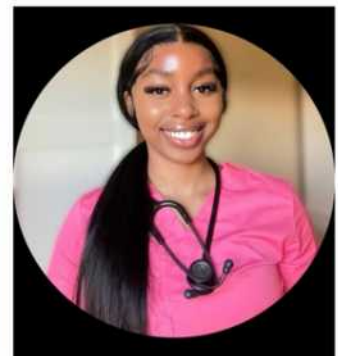
NAVIGATING SICKLE CELL CARE, CRISIS AND LOSS

SCSi  
Sickle Cell Society Ireland

Esther Pepple Olomemen  
CEO/Founder Sick Cell Society Ireland  
18<sup>th</sup> Dorys Congress, Strasbourg, France 12<sup>th</sup>-14<sup>th</sup> October 2023



## REME AND DEBBIE



## WHAT DOES A HOSPITAL AND BEING SICK MEAN TO





**Khaddouj Benmoussa**  
**Mickael Beraud**  
**Hugo Fabre**  
**Angie Charbonneau**  
**Aïcha Bah**



## Khaddouj Benmoussa

### Options de traitement pour les patients atteints de drépanocytose en France – Recommandation transfusionnelles et pratiques cliniques.

**Objectif :** La société Terumo BCT (TBCT) a organisé un Comité Consultatif, en présence de médecins experts ((Key Opinion Leaders ; KOLs) de la drépanocytose. L'objectif étant d'avoir une meilleure compréhension des pratiques cliniques ainsi que de leur alignement avec les recommandations françaises en termes de transfusion et aRBCX, mais aussi de comprendre les disparités géographiques et entre les centres de soins observées dans la prise en charge des patients drépanocytaires dans le pays.

**Méthodes :** Le Comité Consultatif qui s'est tenu ce 2 février 2023, a permis de réunir 9 experts de la drépanocytose en France, de spécialités variées ainsi les représentants des affaires médicales de TBCT.

**Résultats-Conclusion :** Sur la base de leur expérience clinique, les 9 experts ont souligné l'efficacité supérieure des aRBCX dans la gestion de plusieurs symptômes de la maladie. Les KOLs et TBCT se sont accordés sur le besoin de générer des données cliniques solides dans le cadre d'études françaises, afin d'évaluer les avantages des aRBCX par rapport aux autres techniques de transfusion. Nous avons également tous relevé la nécessité de mettre à jour les recommandations françaises en termes de transfusion, particulièrement concernant les aRBCX, qui ne semblent pas alignées avec les pratiques cliniques, la génération de données semblant essentielles à leur réévaluation. Ces observations sont également soutenues par des données obtenues lors d'une enquête réalisée en partenariat avec le groupe RPP Healthcare auprès d'une association de patients drépanocytaires, sous forme de questionnaire basé sur l'accès aux différents traitements en France. En effet, les réponses obtenues, montrent une diminution de l'utilisation des thérapies transfusionnelles en France Métropolitaine. Ces données, très préliminaires, restent cependant à confirmer, par un élargissement de l'enquête auprès d'autres associations.

Cela souligne à nouveau l'importance d'avoir une vision plus claire du parcours de soin des patients atteints de drépanocytose en France, particulièrement au sujet des transfusions sanguines et des aRBCX.





**Edwige DEDJINOU, MD**  
**Selma GOMEZ**  
**Roukiyath AMOUSSA**  
**Monelle GANDEGNON1**  
**Manassé KAKPO**  
**Bernice QUENUM**

**Centre de Prise en Charge  
Médicale Intégrée du  
Nourrisson et de la Femme  
Enceinte Atteints de  
Drépanocytose (CPMI-NFED)  
Cotonou – BENIN**

## Edwige Dèdjinou

### Evaluation thérapeutique des ulcères de jambe chez les sujets atteints de drépanocytose au Bénin.

**Introduction** : L'ulcère de jambe (UJ) est une complication chronique chez le sujet atteint de drépanocytose. Il est responsable de lésions dermo-épidermiques pouvant atteindre l'os.

**Objectifs** : évaluer sur le plan clinique et thérapeutique la prise en charge des UJ chez les drépanocytaires suivis au CPMI NFED.

**Méthodes** : Étude rétrospective portant sur les patients SDM porteurs d'UJ suivis au CPMI-NFED de 1993 à 2023.

**Résultats** : Sur 3618 sujets atteints de drépanocytose régulièrement suivis, 28 (7,73%) ont été diagnostiqués porteurs d'un UJ. L'ensemble des patients était homozygote SS, avec un âge moyen de  $18 \pm 6$  ans et un profil hémolytique (LDH = 702,82 et Hb=7,3g/dl). Dans 78% des cas la survenue de l'ulcère était spontanée par l'apparition de plaies. L'association UJ et insuffisance pondérale était statistiquement significative ( $n=20$ , valeur de  $p < 0,001$ ). Le traitement était médical et fait de soins locaux associés à une antibiothérapie adaptée après écouvillonnage et antibiogramme. L'évolution a été favorable avec une cicatrisation totale pour 13 patients (46,42%) dans un délai moyen de 32 mois. Des récurrences ont été notées chez 19 patients (67,85%). Aucun patient n'a bénéficié de traitement chirurgical.

**Conclusion** : Dans cette étude, le nombre élevé de récurrences et le délai important de guérison incite l'exploration d'autres pistes thérapeutiques. La chirurgie plastique ou l'approche de la phytothérapie est actuellement envisagée et fait l'objet d'une étude en cours.

**Mots clés** : Drépanocytose ; Ulcère de Jambe ; thérapeutique.



# Selma Gomez

## Evaluation de la performance scolaire en 2023 chez les enfants atteints de drépanocytose au Bénin.

**Objectifs** : Analyser et comparer les performances scolaires des patients à celles de leurs fratries non atteintes et à un autre groupe de patients pédiatrique non atteints ; Déterminer les associations entre les facteurs démographiques, les caractéristiques cliniques, les symptômes dépressifs et les performances scolaires des patients ; Identifier les raisons potentielles des mauvais résultats scolaires des enfants et des adolescents atteints de drépanocytose signalées par les parents et les enseignants.

**Méthodes** : Cette étude a porté sur les performances scolaires de trois groupes de participants (Patients suivis atteints de drépanocytose – Fratrie non atteinte - Patients pédiatriques non atteints) âgés de 5 ans à 18 ans, scolarisé en primaire ou secondaire. Une fiche d'enquête portant sur les facteurs socio-démographiques, les caractéristiques cliniques, et les symptômes de dépression, a été élaboré et soumis aux participants pour la collecte des données. Les analyses statistiques ont été réalisées avec Stata Corp. 2021. Stata Statistical Software 17 et statistical Package for the Social Sciences (SPSS®) version 25 (IBM Corp).

**Résultats** : Au total, 209 personnes ont participé à l'étude, dont 100 patients SDM, 43 fratries non drépanocytaires et 63 patients pédiatriques non atteints. Le score académique moyen global du groupe patient était de  $13,3 \pm 3$  tandis que le score moyen global des groupes de comparaison (fratrie et groupe pédiatrique) était de  $12,80 \pm 2,6$ . Aucune différence significative n'a été trouvée entre ces scores ( $p$ -valeur = 0,196). Aucune association n'a été noté entre les résultats scolaires et les caractéristiques cliniques évaluées (génotype, fréquence des hospitalisations, antécédents de transfusion sanguine et fréquence des crises vaso-occlusives). Des niveaux élevés de symptômes dépressifs ont été uniquement noté chez les patients et associés aux scores scolaires bas chez ces derniers ( $p$ -valeur = 0,019).

**Conclusion** : Cette étude est la première tentative d'évaluation des performances scolaires des enfants et adolescents atteints de drépanocytose dans le cadre du programme de soins complet proposé par le CPMI-NFED. Bien qu'il n'existe aucune différence significative dans les résultats scolaires des patients atteints de drépanocytose par rapport à leurs frères et sœurs non atteints et au groupe témoin pédiatrique, des mesures doivent être prises pour fournir un soutien adéquat aux patients qui rencontrent des difficultés avec leurs résultats scolaires.

Selma GOMEZ, PhD  
Edwige DEDJINO  
Bonaventure IKEDIASHI  
Roukiyath AMOUSSA1  
Katharina ROSER2  
Eva DE CLERCQ  
Manasse KAKPO1  
Monelle GANDEGNON  
Bernice QUENUM1  
Gisela MICHEL

1. Centre de Prise en Charge Médicale Intégrée du Nourrisson et de la Femme Enceinte Atteints de Drépanocytose (CPMI-NFED) Cotonou – BENIN.

2. University of Lucerne, Department of Health Sciences and Medicine; Lucerne – SUISSE.



**Keto M. Ariane, MD**  
**Tshilolo L**  
**Bodi MJ**  
**Mfulani G**  
**Mafuta E**  
**Aketi PL**  
**Mabela MA**  
**Monkoti M**  
**Ngiyulu MR**



# Ariane Kéto

## Impact de la déficience en G6PD sur la drépanocytose chez les enfants à Kinshasa

**Introduction** : La déficience en Glucose-6-Phosphate Déshydrogénase (G6PD) et la drépanocytose sont deux maladies génétiques du globule rouge qui provoquent chacune une anémie hémolytique. Elles sont principalement retrouvées en Afrique sub-saharienne, en particulier en République Démocratique du Congo (RDC) et peuvent coexister. Cependant, aucune étude n'a été réalisée en RDC concernant cette comorbidité.

**Objectif** : Déterminer l'impact clinico-biologique de la déficience en G6PD sur la drépanocytose chez les enfants à Kinshasa.

**Méthodologie** : Etude cas-témoin concernant 416 drépanocytaires et 416 témoins non drépanocytaires âgés de 6 mois à  $\leq 18$  ans, appariés selon l'âge, le sexe et la résidence. Ils ont été sélectionnés aléatoirement dans 4 districts sanitaires de la ville de Kinshasa durant la période allant de juin 2017 à juin 2019. L'activité de la G6PD a été déterminée par la méthode à ELISA, et l'électrophorèse d'hémoglobine par a confirmé la drépanocytose.

**Résultats** : Sur les 832 participants (cas et témoins), il y avait 414 de sexe masculin (49,8%) et 418 de sexe féminin (50,2%) avec un sex ratio H/F de 1,0. L'âge moyen de la population d'étude était de  $9,3 \pm 4,3$  ans. La prévalence globale de la déficience en G6PD était de 18,8% avec une prédominance chez les drépanocytaires homozygotes (25,2%) par rapport au groupe témoin (12,3%).

**Conclusion** : La déficience en G6PD pourrait avoir une influence sur le nombre de transfusion, la survenue des infections, les complications vaso-occlusives, ainsi que l'expression symptomatologique de la drépanocytose mais sans influencer sur les troubles neurologiques (AVC) ni sur les paramètres biologiques en état d'équilibre.





# Gueth Kundabi

## Traitement par Siklos chez les patients drépanocytaires : à propos d'une cohorte des patients drépanocytaires suivis à l'hôpital de Meaux France

**Contexte** : La drépanocytose est une hémoglobinopathie héréditaire, caractérisée par une récurrence des crises douloureuses, une anémie chronique et des complications systémiques. C'est la maladie génétique la plus fréquente au monde, avec plus de 400,000 naissances/an. Le traitement par hydroxyurée a montré un réel bénéfice dans l'évolution de la maladie, particulièrement dans les pays où l'accessibilité aux transfusions et à la greffe est plus difficile.

La présente étude a voulu connaître les indications de début du traitement ainsi que l'efficacité et ses effets secondaires.

**Méthodes** : il s'agit d'une série de cas, de seize enfants drépanocytaires âgés de 1 à 18 ans, régulièrement suivi à l'hôpital de Meaux et mise sous hydroxyurée avant 2020.

**Résultats** : Un total de seize patients drépanocytaires sous siklos ont été suivi, dont neuf garçons et sept filles. La tranche d'âge la plus représentée était de 13 à 18 ans dans 43.8%. Le génotype dominant était SS. Les principales indications de la mise sous siklos étaient : des CVO multiples, un syndrome thoraciques aigu (STA), de doppler trans-cranien pathologique (DTC) et un taux bas de l'hémoglobine.

Une année après mise sous siklos, nous avons noté une baisse légère du nombre des CVO d'environ 12%, une baisse de STA d'environ 64%, une baisse du nombre des transfusions et d'hospitalisations respectivement dans 48% et 33%. Sur le plan biologique, nous avons noté une augmentation du taux moyen d'hémoglobine d'environ 17%, une diminution de polynucléaires neutrophiles d'environ 27% et une augmentation notable de l'hémoglobine foetale d'environ 82%.

**Conclusion** : La présente étude a montré que les indications du siklos étaient conformes aux recommandations et que ce traitement avait une efficacité clinique et biologique chez les enfants drépanocytaires.

**Mots clés** : drépanocytose, hydroxyurée, siklos, cohorte, Centre hospitalier de Meaux.

**Gueth KUNDABI AKOTO MD 1**

**Caroline Masserot 2**  
**Karim Assani 1**  
**Nina Domo 1**  
**Aleine Budiongo 1**  
**René Ngiyulu 1**  
**Jean-lambert Gini 1**

**1. Service d'héματο-  
oncologie, Département de  
Pédiatrie/Cliniques  
Universitaires de Kinshasa**

**2. Service de Pédiatrie  
générale, Centre Hospitalier  
de Meaux (France)**