



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

LISTE DES ACTES ET PRESTATIONS - AFFECTION DE LONGUE DURÉE

Syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent

Protocole national de diagnostic et de soins pour une maladie rare

Janvier 2010

Ce document est téléchargeable sur
www.has-sante.fr

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

Sommaire

1. Avertissement	2
2. Critères médicaux d'admission en vigueur (Haut Comité médical de la Sécurité sociale - 2002)	3
3. Listes des actes et prestations	4
3.1 Actes médicaux et paramédicaux	4
3.2 Biologie.....	6
3.3 Actes techniques	8
3.4 Traitements.....	10
3.5 Autres traitements.....	11
3.6 Dispositifs médicaux et autres matériels	12

Mise à jour des guides et listes ALD

Le protocole national de diagnostic et de soins (PNDS) pour les syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent a été élaboré par un groupe de pilotage coordonné par les centres de référence de la prise en charge de la drépanocytose de l'enfant à l'adulte avec le soutien méthodologique de la Haute Autorité de Santé (HAS), en application des dispositions du Plan national maladies rares 2005-2008.

Dans le cadre de sa mission relative aux affections de longue durée, la HAS valide le PNDS. Ce dernier ainsi que la liste des actes et prestations (LAP) qui en découle sont révisés tous les trois ans.

Dans l'intervalle, la LAP est actualisée au minimum une fois par an et disponible sur le site Internet de la HAS (www.has-sante.fr).

1. Avertissement

La loi n°2004-810 du 13 août 2004 relative à l'Assurance maladie a créé la Haute Autorité de Santé et a précisé ses missions, notamment dans le domaine des affections de longue durée (article R161-71 du Code de la Sécurité sociale).

En son article 6, elle modifie l'article L322-3 du Code de la Sécurité sociale, qui définit les circonstances d'exonération du ticket modérateur pour l'assuré, et l'article L324-1 du même Code, qui précise les obligations en cas d'affection de longue durée, notamment celle d'établir un protocole de soins de façon conjointe entre le médecin traitant et le médecin-conseil de la Sécurité sociale. Ce protocole est signé par le patient ou son représentant légal.

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

- émet un avis sur les projets de décrets pris en application du 3° de l'article L322-3 fixant la liste des affections de longue durée comportant un traitement prolongé et une thérapeutique particulièrement coûteuse ;
- formule des recommandations sur les critères médicaux utilisés pour la définition de ces mêmes affections ;

Les critères médicaux utilisés pour la définition de l'affection de longue durée et ouvrant droit à la limitation ou à la suppression de la participation de l'assuré sont annexés à la liste des affections figurant à l'article D322-1 du Code de la Sécurité sociale.

- formule des recommandations sur les actes et prestations nécessités par le traitement des affections mentionnées à l'article L324-1 pour lesquels la participation de l'assuré peut être limitée ou supprimée, en application du 3° de l'article L322-3.

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

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

ALD10 : Hémoglobinopathies, hémolyses chroniques constitutionnelles et acquises sévères

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

I – Hémoglobinopathies invalidantes

L'anémie y est constante, souvent sévère. L'électrophorèse de l'hémoglobine en permet généralement le classement :

1. Syndromes drépanocytaires majeurs (homozygotie SS, hétérozygoties composites SC et S-bêta-thalassémie) ;
2. Syndromes thalassémiques majeurs : bêta-thalassémie homozygote ou maladie de Cooley, alpha-thalassémies majeures (hémoglobinoïde H), hétérozygoties composites bêta-thalassémie-hémoglobinoïde E ou bêta-thalassémie /hémoglobine Lepore ;
3. Syndromes thalassémiques bêta intermédiaires.

II –Hémolyses chroniques

Maladies génétiques et acquises des hématies générant une hémolyse symptomatique chronique ou par poussées (ex : sphérocytose héréditaire

ou maladie de Minkowski-Chauffard, déficit en pyruvate-kinase, en glucose 6-phosphate déshydrogénase, autres enzymopathies érythrocytaires, hémoglobines instables, maladie de Marchiafava-Micheli ou hémoglobinoïdurie paroxystique nocturne, etc.), microangiopathie thrombotique thrombocytopénique ou maladie de Moschcowitz (évolution récurrente possible).

La prise en charge de ces affections est justifiée :

1. en raison des soins particulièrement longs ou coûteux ;
2. en raison de la surveillance spécialisée dont elles doivent souvent faire l'objet même en dehors de tout traitement spécifique.

3. Listes des actes et prestations

3.1 Actes médicaux et paramédicaux

Professionnels	Situations particulières
<i>Prise en charge régulière</i>	
Pédiatre ou médecin généraliste	Tous les enfants et adolescents, en coordination avec un centre de référence ou de compétence de prise en charge de la drépanocytose
Pédiatre spécialisé en drépanocytose	Coordination de la prise en charge multidisciplinaire en centre de référence ou de compétence
Hématologiste ou interniste	Selon les cas, en particulier lors de la transition de prise en charge pédiatrique/adulte
Radiologue	Bilan initial et suivi
Pédopsychiatre ou psychiatre	Selon besoin
Infirmier	Selon prescription
Psychologue	Tous les patients, selon leur demande. Prestation dont le remboursement n'est pas prévu par la législation (prise en charge possible dans le cadre de structures hospitalières ou de réseaux)
<i>Prise en charge plus ponctuelle</i>	
Pédiatres spécialistes d'organe notamment : chirurgiens viscéral et orthopédique, neurochirurgien, pneumologue, cardiologue, ORL, dermatologue, endocrinologue, gastro-entérologue, anesthésiste-réanimateur, ophtalmologiste, stomatologue, néphrologue, généticien	Selon besoin, dans le cadre d'une prise en charge multidisciplinaire coordonnée
Hématologiste spécialiste de la transplantation de cellules souches hématopoïétiques	Selon besoin

Professionnels	Situations particulières
Kinésithérapeute	Selon besoin
Ergothérapeute	Selon besoin. Prestation dont le remboursement n'est pas prévu par la législation (prise en charge possible dans le cadre de structures hospitalières ou de réseaux)
Diététicien	Selon prescription, règles hygiéno-diététiques. Prestation dont le remboursement n'est pas prévu par la législation (prise en charge possible dans le cadre de structures hospitalières ou de réseaux)
Orthophoniste	Selon besoin
Dentiste	Tous les patients
Professionnels des centres de référence ou de compétence	Tous les patients pour la coordination de la prise en charge multidisciplinaire, au minimum annuelle

Éducation thérapeutique

L'éducation thérapeutique constitue une dimension de l'activité de certains professionnels. Elle doit veiller à l'implication du patient et de ses parents : intelligibilité de sa maladie, maîtrise des gestes techniques et adaptation du mode de vie.

L'éducation thérapeutique de l'enfant ou de l'adolescent et de son entourage vise principalement à prendre en charge et prévenir les complications et apprendre les gestes liés aux soins.

Ces actions d'éducation requièrent le concours de différents professionnels de santé qui peuvent intervenir au moyen d'actes individuels auprès des patients ou par une éducation de groupe. La coordination des différents professionnels est préférable à la juxtaposition d'interventions isolées.

Le recours aux associations de patients est systématiquement proposé, le choix devant en rester au patient.

3.2 Biologie

Examens	Situations particulières
Hémogramme	Bilan initial et suivi régulier
Numération des réticulocytes	Bilan initial et suivi
Dosage de l'hémoglobine S	Bilan initial et surveillance des échanges transfusionnels
Dosage de l'hémoglobine fœtale	Bilan initial et suivi
Etude biochimique de l'hémoglobine	Bilan initial et suivi
Groupe sanguin avec phénotypage étendu	Bilan initial à répéter entre l'âge de 6 mois et 1 an, ou 3 mois après transfusion pour permettre l'établissement de la carte de groupe qui ne sera définitive qu'après l'âge de 1 an
Dosage de G6PD	Bilan initial
Fer sérique, capacité totale de fixation de la transferrine, ferritine	Bilan initial et suivi
Ionogramme, créatininémie et clairance calculée de la créatinine, protéinurie, microalbuminurie	Bilan initial et suivi Calcul par la formule de Schwartz chez l'enfant, de Cockcroft-Gault chez l'adulte
Bêta2-microglobulinurie	Bilan initial et suivi
ALAT, ASAT, gammaGT, phosphatases alcalines, bilirubine, TP	Bilan hépatique initial et de suivi annuel de la maladie et/ou du traitement chélateur du fer
Calcémie, phosphorémie, vitamine D, PTH	Bilan phosphocalcique annuel
Sérologie érythrovirus (parvovirus B19)	Jusqu'à positivation
Dosage des anticorps anti-HBs	Pour vérifier l'efficacité de la vaccination VHB
Recherche d'agglutinines irrégulières	Pour tous les enfants ayant un antécédent transfusionnel, lors du bilan annuel et lors de toute complication aiguë

Liste des actes et prestations
ALD 10 « Syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent »

Examens	Situations particulières
Sérologies VIH et VHC	Pour les enfants ayant un antécédent transfusionnel
ECBU	Bilan de fièvre isolée
Hémocultures	Bilan de fièvre isolée
CRP	Bilan de fièvre isolée
Gaz du sang	Bilan de fièvre isolée, selon besoin
Dosage du zinc	Selon besoin
Typage HLA intrafamilial	Au diagnostic et complété si nouveaux membres dans la fratrie
Étude moléculaire des gènes de la globine	Au diagnostic
Alpha-fœtoprotéine	Tous les 6 à 12 mois si risque d'hépatocarcinome

3.3 Actes techniques

Actes	Situations particulières
Ponction articulaire	Épanchement articulaire fébrile
Ponction osseuse	À visée bactériologique en cas d'abcès sous-périosté
Ponction biopsie hépatique	Examen de référence en cas d'hémochromatose mais à discuter selon le contexte en raison du risque particulier chez l'enfant drépanocytaire
Pose de dispositif veineux site implantable	Accès veineux difficiles, chélation par déféroxamine (DFO) IV continu
Imagerie	
Radiographies du thorax	Bilan annuel à partir de 3 ans
Radiographies du bassin	À partir de 6 ans, à répéter en fonction des signes cliniques, dépistage et suivi d'une ostéonécrose de la tête fémorale
Radiographies de l'épaule	Selon besoin, recherche d'ostéonécrose de la tête humérale
Autres radiographies osseuses	Selon besoin
Échographie-doppler transcrânienne	Bilan annuel à partir de 12-18 mois ou trimestriel en cas d'anomalies
Échographie abdominale	Bilan annuel à partir de 3 ans. En cas de symptomatologie clinique évocatrice de lithiase et de manière systématique tous les 2 ans. Échographie systématique semestrielle par un échographiste référent en hépatologie en cas de cirrhose (ou score F3 ou F4 de METAVIR)
Échographie ostéo-articulaire	Suspicion d'ostéomyélite ou d'arthrite septique avec signes locaux inflammatoires importants et limitation articulaire
Échographie rénale avec doppler	Bilan d'hématurie macroscopique
Scanner cérébral	Selon besoin
IRM cérébrale	Selon besoin
IRM cardiaque	Selon besoin.

Liste des actes et prestations
 ALD 10 « Syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent »

Actes	Situations particulières
IRM hépatique	Méthode non invasive pour évaluer la concentration en fer hépatique après transfusions sanguines répétées. Tous les 1 à 2 ans à partir du début de la chélation
IRM ostéo-articulaire	Selon besoin
Autres examens	
ECG	Douleur thoracique gauche inexplicée.
Echographie cardiaque	À partir de 6 ans, à répéter en fonction des signes cliniques
EFR	À partir de 6 ans, selon besoin
FO	Dès l'âge de 6 ans
Angiographie rétinienne	En fonction des données du FO
Electrorétinogramme	Selon symptômes, tous les ans si diabète ou hyperchélation.
Endoscopie œsogastrique	Si suspicion d'hypertension portale (scores F3 ou F4 de METAVIR) ou signes échographiques d'HTP
Audiogramme	Suivi de traitement chélateur

3.4 Traitements

Traitements pharmacologiques ¹	Situations particulières
Pénicilline V	Prophylaxie systématique des infections à pneumocoques, à partir de l'âge de 2 mois jusqu'à 5 ans au moins
Autres antibiotiques	Selon besoin
Antipyrétiques	Selon besoin
Antalgiques non opioïdes, opioïdes faibles et opioïdes forts	Selon l'intensité et la durée de la douleur.
Ibuprofène <i>per os</i> , kétoprofène IV	Association avec antalgiques (hors AMM avec accord d'experts)
Anesthésiques locaux	Selon besoin
Antiseptiques locaux	Ulcères de jambe
Laxatifs	Traitement de la constipation et prévention des effets indésirables des morphiniques et de la codéine
Naloxone	En milieu hospitalier, en cas de surdosage morphinique
Hydroxyzine	Selon besoin, en complément d'un traitement antalgique, cas de crise vaso-occlusive
Bêta2-mimétiques	Selon besoin, en cas de syndrome thoracique aigu et traitement de l'asthme
Etiléfrine <i>per os</i> et injectable	Priapisme (hors AMM)
Antihypertenseurs	Selon besoin, traitement de l'HTA. IEC pour le traitement de néphropathie
Vitamines D	Selon recommandations et besoins
Acide folique	Systématique
Zinc élément	En période prépubertaire

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

Traitements pharmacologiques¹	Situations particulières
Hydroxycarbamide	Prévention des crises vaso-occlusives douloureuses récurrentes, y compris les syndromes thoraciques aigus chez l'enfant de plus de 2 ans
Médicaments chélateurs du fer	Hémochromatose posttransfusionnelle
Solutés de perfusion	Selon besoin, hyperhydratation par voie IV ou sonde nasogastrique

3.5 Autres traitements

Traitements	Situations particulières
Vaccins du calendrier vaccinal	Tous les enfants
Vaccin BCG	Populations à risque
Vaccin ROR	Tous les enfants
Vaccin antipneumococcique	Tous les enfants selon RCP
Vaccins antiméningococciques	A partir de 2 mois selon RCP
Vaccin anti-haemophilus influenzae b	Tous les enfants
Vaccin antigrippal	Annuel à partir de 6 mois
Vaccination VHB	Tous les enfants
Vaccins antipapilloma virus	Cf. RCP
Vaccination antihépatite A	A partir de 1 an pour les voyageurs en zone d'endémie (non remboursé)
Vaccin antityphoïdique	A partir de 2 ans pour les voyageurs en zone d'endémie (non remboursé)
Transfusion de culots globulaires	Selon besoin, culots globulaires phénotypés sauf urgence
Echange transfusionnel	Selon indication
Allogreffe de cellules souches hématopoïétiques	Selon indication

3.6 Dispositifs médicaux et autres matériels

Dispositifs médicaux et autres matériels	Situations particulières
Mélange équimolaire oxygène protoxide d'azote (MEOPA)	Selon besoin, à titre antalgique en milieu hospitalier en cas de crise vaso-occlusive
Dispositifs médicaux pour perfusions à domicile	Patients sous déféroxamine (DFO)
Pousse-seringue programmable portable	Patients sous DFO
Patient controlled analgesia (PCA)	Traitement par morphiniques par voie IV
Chambres implantables et autres cathéters centraux	Selon accès veineux
Diffuseurs portables	Patients sous DFO
Matériel d'oxygénothérapie	Selon besoin, en cas de crise vaso-occlusive
Seringues et aiguilles	Patients sous DFO
Articles pour pansements	Patients sous DFO, ulcères de jambe
Dispositif de compression veineuse	Accès veineux difficiles, chélation par DFO IV continu, ulcères de jambe
Orthèses	Complications ostéo-articulaires
Prothèses auditives amplificatrices	Perte auditive liée aux traitements chélateurs



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