



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

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

Syndromes thalassémiques majeurs et intermédiaires

Actualisation juillet 2009

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 (HCMSS avril 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.....	9
3.5 Autres traitements.....	10
3.6 Dispositifs et autres matériels	11

Mise à jour des guides et listes ALD

Les guides médecin élaborés par la Haute Autorité de Santé sont révisés tous les 3 ans.

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

1. Avertissement

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

En son article 6, elle modifie l'article L.322-3 du code de la sécurité sociale qui définit les circonstances d'exonération du ticket modérateur pour l'assuré et, l'article 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 L.322-3 fixant la liste des affections de longue durée comportant un traitement prolongé et une thérapeutique particulièrement coûteuse
- formule des recommandations sur les critères médicaux utilisés pour la définition de ces mêmes affections

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

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

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

2. Critères médicaux d'admission en vigueur (HCMSS avril 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 (hémoglobinoses H), hétérozygoties composites bêta-thalassémie-hémoglobinoses 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 deshydrogénase, autres enzymopathies érythrocytaires, hémoglobines instables, maladie de Marchiafava-Micheli ou hémoglobinurie paroxystique nocturne, etc.), micro-angiopathie thrombotique thrombocytopénique ou maladie de Moschowitz (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.

Les formes mineures de thalassémie qualifiées également de trait thalassémique (formes bêta hétérozygotes et alpha mineures) sont en règle générale asymptomatiques et parfaitement bien supportées. Leur prise en charge médicale est restreinte à l'établissement du diagnostic. Elles ne justifient pas l'exonération du ticket modérateur.

3. Listes des actes et prestations

3.1 Actes médicaux et paramédicaux

Professionnels	Situations particulières
Pédiatre/Médecin généraliste	Tous les patients.
Hématologue	Tous les patients pour un suivi et selon besoin pour une information des familles sur la greffe de cellules souches hématopoïétiques.
Cardiologue	Consultation annuelle ou plus rapprochée selon l'état clinique. En règle à partir de l'âge de 10 ans pour les patients régulièrement chélatés.
Hépto-gastro-entérologue	Bilan initial des complications hépatiques de la surcharge en fer et du risque viral (dépistage, prévention et traitement).
Rhumatologue	Selon besoin, prise en charge de l'ostéoporose.
Radiologue	Suivi des complications de la maladie, de la surcharge en fer, des complications éventuelles du traitement chélateur.
ORL	Surveillance de l'audiométrie annuelle dans le cadre des effets secondaires potentiels liés aux traitements chélateurs du fer.
Spécialistes de la reproduction	Selon besoin.
Ophtalmologiste	Surveillance annuelle de la toxicité potentielle des traitements chélateurs du fer sur la rétine et du cristallin.
Endocrinologue	Dépistage annuel et prise en charge des complications endocriniennes de la surcharge en fer.
Autres spécialistes : stomatologiste	Si besoin en particulier thalassémies intermédiaires (TI).
chirurgien viscéral	Selon indication (cholécystectomie, splénectomie).
Chirurgien orthopédique	Selon indications (fractures).
Kinésithérapeute	Selon symptômes.

Professionnels	Situations particulières
Diététicien	Selon prescription, règles hygiéno-diététique Prestation dont le remboursement n'est pas prévu par la législation (prise en charge possible dans le cadre de structures hospitalières ou de réseaux).
Infirmier	Patients sous déféroxamine (DFO) (chélation par voie parentérale) + éducation thérapeutique.
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).
Dentiste	Patients splénectomisés, bilan pré-greffe.
Professionnels des centres de référence et de compétence	Tous les patients pour la coordination de la prise en charge multidisciplinaire, au minimum annuelle.

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	Avant chaque transfusion (TF), hebdomadaire en cas de chélation par défériprone (DFP).
Numération des réticulocytes	Selon besoin
Groupe sanguin ABO-RH1	Avant la 1 ^{ère} TF (deux déterminations).
Phénotype RH-KEL1	Avant la 1 ^{ère} TF (deux déterminations).
Phénotype érythrocytaire étendu : antigènes FY1,FY2, JK1, JK2, MNS3 et MNS4	Avant la 1 ^{ère} TF (deux déterminations).
Recherche agglutinines irrégulières (dépistage)	Avant chaque TF.
HPLC, électrophorèse de l'Hb	Examen de référence pour le diagnostic.
ALAT, ASAT, GGT, Phosphatases alcalines, bilirubine, TP Ionogramme, créatininémie et clairance calculée de la créatinine, protéinurie	Bilan hépatique en surveillance de la maladie et/ou du traitement chélateur du fer tous les mois ou tous les 3 mois selon le type de traitement chélateur. Calcul par la formule de Schwartz chez l'enfant, de Cockcroft-Gault chez l'adulte, tous les mois à 3 mois selon le type de traitement chélateur.
Calcémie, phosphorémie,	Bilan phosphocalcique, tous les 3 mois à partir de 10 ans.
PTH et Vit D (25OH-D)	Selon hypocalcémie ou systématique à partir de 10 ans.
Fonction thyroïdienne (TSH, FT4)	Tous les 6 à 12 mois à partir de 10 ans.
Charge orale au glucose Glycosurie, glycémie	Tous les ans à partir de 12 ans. Tous les 3 mois.
Gonadotrophines hypophysaires	Exploration de leur sécrétion Selon symptômes.

Examens	Situations particulières
Testostérone	Tous les ans à partir de la puberté.
Estradiol	Selon besoins.
Ferritinémie	Tous les patients, tous les mois à tous les 3 mois.
Coefficient de saturation de la transferrine	Selon les cas.
Dosage du zinc	2 à 4 fois/an.
Dosage de la vitamine C	1 fois /an.
Typage HLA intrafamilial	Au diagnostic et complété si nouveaux membres dans la fratrie.
Etude moléculaire des gènes de la globine	Au diagnostic.
Alphafoetoprotéine	Tous les 6 à 12 mois si risque d'hépatocarcinome.

3.3 Actes techniques

Actes	Situations particulières
Ponction biopsie hépatique	A discuter si suspicion de cirrhose (permet d'établir un score de fibrose de METAVIR)
Pose de dispositif veineux site implantable	Accès veineux difficiles, chélation par DFO IV continu
Imagerie	
IRM cardiaque	Tous les 1 à 2 ans à partir de l'âge de 10-12 ans
IRM hépatique	Tous les 1 à 2 ans à partir du début de la chélation
Échographie abdominale	En cas de symptomatologie clinique évocatrice de lithiase et de manière systématique tous les 2 ans Echographie systématique semestrielle par un échographiste référent en hépatologie en cas de cirrhose (ou score F3 ou F4 de METAVIR)
Autres examens	
ECG, échographie cardiaque avec évaluation de la fonction diastolique et des PAP	Tous les ans à partir de 10 ans pour la détection des complications (tous les 2-3 ans avant 10 ans) ou plus rapprochée selon l'état clinique pour le suivi et l'adaptation de la stratégie thérapeutique.
Holter ECG	Selon les besoins
Endoscopie oesogastrique	Si suspicion d'hypertension portale (scores F3 ou F4 de METAVIR) ou signes échographiques d'hypertension portale
Audiogramme	Tous les ans
Ostéodensitométrie	Tous les 2 ans à partir de l'adolescence
Radiographies osseuses	Age osseux, radiographies du rachis tous les 2 ans pendant la croissance
FO	Tous les ans
Electrorétinogramme	Selon symptômes, tous les ans si diabète ou hyperchélation

3.4 Traitements

Traitements pharmacologiques ⁽¹⁾	Situations particulières
Médicaments chélateurs du fer	Tous les patients
Antibiothérapie	Selon symptômes Patients splénectomisés
Stéroïdes sexuels	Selon besoins
Gonadotrophines	Selon besoins
Thyroxine	Selon besoins
Hormone de croissance	Selon besoins
Insuline	Selon besoins
Calcium	Selon besoins
Vitamines D, C, E	Selon besoins
Acide folique	Tous les patients atteints de TI Selon besoins pour les thalassémies majeures (TM)
Bisphosphonates oraux ou injectables	Ostéoporose Prescription hors AMM pour certaines spécialités
Hydroxyurée	Prescription hors AMM
Zinc	Selon besoins
Erythropoïétine	Prescription hors AMM
Anti-histaminiques Corticoïdes	Selon symptômes
Antalgiques et AINS	Selon besoins
Anesthésiques locaux	Selon besoins
Diurétiques	Selon symptômes

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 pharmacologiques ⁽¹⁾	Situations particulières
Peg-Interférons Ribavirine Inhibiteurs nucléos(t)idiques	Traitement des hépatites virales B, C ou D. Traitement des hépatites virales B, C ou D
IEC, ARA II, diurétiques Digitaliques β-bloquants Amiodarone Anticoagulants Antiagrégants plaquettaires	Selon symptômes

3.5 Autres traitements

Traitements	Situations particulières
Vaccination VHB	Tous les patients selon statut
Vaccination VHA	Tous les patients selon statut (prise en charge non prévue par la législation)
Vaccins anti-pneumococciques	Tous les enfants et les patients splénectomisés
Vaccins anti-méningococcique et anti-hemophilus influenzae b	Patients splénectomisés

3.6 Dispositifs et autres matériels

Dispositifs et autres matériels	Situations particulières
Dispositifs médicaux pour perfusions à domicile	Patients sous DFO
Pousse-seringue programmable portable	Patients sous DFO
Diffuseurs portables	Patients sous DFO
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
Prothèses auditives amplificatrices	Perte auditive liée aux traitement chélateur

HAS

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