



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

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

## **Syndromes drépanocytaires majeurs de l'adulte**

Protocole national de diagnostic et de soins pour une maladie rare

**Janvier 2010**

Ce document est téléchargeable sur  
[www.has-sante.fr](http://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

<b>1. Avertissement</b> .....	<b>2</b>
<b>2. Critères médicaux d'admission en vigueur (Haut Comité médical de la Sécurité sociale - 2002)</b> .....	<b>3</b>
<b>3. Listes des actes et prestations</b> .....	<b>4</b>
3.1 Actes médicaux et paramédicaux .....	4
3.2 Biologie.....	6
3.3 Actes techniques .....	8
3.4 Traitements.....	10
3.5 Autres traitements.....	12
3.6 Dispositifs médicaux et autres matériels .....	13

## Mise à jour des PNDS / ALD

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

Dans le cadre de sa mission relative aux affections de longue durée, la HAS valide le PNDS. Ce dernier ainsi que la Liste des actes et prestations (LAP) qui en découle sont révisés tous les 3 ans. Dans l'intervalle, la LAP est actualisée au minimum une fois par an et disponible sur le site Internet de la HAS ([www.has-sante.fr](http://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 lesquels la participation de l'assuré peut être limitée ou supprimée, en application du 3° de l'article L.322-3.

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

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

### **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 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
<b><i>Prise en charge régulière</i></b>	
Hématologiste ou médecin interniste	Tous les patients, bilan initial et suivi
Médecin généraliste	Tous les patients, en coordination avec un centre de référence ou de compétence de prise en charge de la drépanocytose
Urgentiste	Prise en charge de complications aiguës
Radiologue	Bilan initial et suivi
Autres spécialistes d'organe notamment : pneumologue, cardiologue, ORL, dermatologue, endocrinologue, gastro-entérologue, ophtalmologiste, stomatologue, néphrologue, neurologue, urologue, gynécologue, hémobiologiste,	Selon besoin, dans le cadre d'une prise en charge multidisciplinaire coordonnée
Psychiatre	Selon besoin
Infirmier	Selon prescription
Kinésithérapeute	Selon besoin
Psychologue	Tous les patients, selon leur demande. <b>Prestation dont le remboursement n'est pas prévu par la législation</b> (prise en charge possible dans le cadre de structures hospitalières ou de réseaux).
<b><i>Prise en charge plus ponctuelle</i></b>	
Chirurgiens viscéral, orthopédique, plasticien, anesthésiste-réanimateur	Selon besoin, dans le cadre d'une prise en charge multidisciplinaire coordonnée
Généticien	Selon besoin

Professionnels	Situations particulières
Hématologiste spécialiste de la transplantation de cellules souches hématopoïétiques	Selon besoin
Ergothérapeute	Selon besoin. <b>Prestation dont le remboursement n'est pas prévu par la législation</b> (prise en charge possible dans le cadre de structures hospitalières ou de réseaux)
Diététicien	Selon prescription, règles hygiéno-diététiques <b>Prestation dont le remboursement n'est pas prévu par la législation</b> (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 : intelligibilité de sa maladie, maîtrise des gestes techniques et adaptation du mode de vie.

L'éducation thérapeutique du patient et de son entourage vise principalement à prendre en charge et prévenir les complications et apprendre les gestes liés aux soins.

Les 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

<b>Examens</b>	<b>Situations particulières</b>
Hémogramme avec examen de frottis	Bilan initial et suivi régulier
Numération des réticulocytes	Bilan initial et suivi
Etude des hémoglobines	Selon les recommandations de la société française de biologie clinique Bilan initial et suivi thérapeutique
Groupe sanguin avec phénotypage étendu	Bilan initial et suivi transfusionnel
Dosage de G6PD et de pyruvate kinase ou hexokinase	Bilan initial
Fer sérique, coefficient de saturation de la transferrine, ferritinémie récepteurs solubles de la transferrine	Bilan martial initial et suivi
Ionogramme, créatininémie, clairance calculée de la créatinine, microalbuminurie, protéinurie, cystatine	Bilan initial et suivi
LDH, uricémie, glycémie à jeûn	Bilan initial et suivi
Bêta2-microglobulinurie	Bilan initial et suivi
ALAT, ASAT, gammaGT, phosphatases alcalines, bilirubine, TP	Bilan hépatique initial et de suivi annuel de la maladie et du traitement chélateur du fer
Dosage des facteurs de coagulation	Selon besoin si TP bas ou insuffisance hépatique
Calcémie, phosphorémie, 25-OH D3,	Bilan phosphocalcique annuel
PTH	Selon besoin pour compléter le bilan phosphocalcique
Bilan lipidique	Bilan initial et suivi
Sérologies VHC, VHB, VIH, HTLV	Bilan initial et suivi



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

<b>Examens</b>	<b>Situations particulières</b>
Sérologies érythrovirus (parvovirus B19),	Bilan initial et suivi jusqu'à positivation
Sérologie toxoplasmose et rubéole, CMV,	Bilan initial et suivi pour les femmes jusqu'à positivation
Recherche d'agglutinines irrégulières	Pour tous les patients avant et après transfusion
VS	Bilan initial et suivi
Électrophorèse des protéides	Bilan initial et suivi
ECBU	Bilan de fièvre isolée
Hémocultures	Bilan de fièvre isolée
CRP	Bilan inflammatoire
Examen cytbactériologique de pélévement vaginal	Suivi trimestriel systématique de grossesse
Gaz du sang	Bilan, selon besoin
Dosage des folates sériques et érythrocytaires, homocystinémie, vit B12	Selon besoin
Dosage du zinc	Selon besoin
Troponine NT-pro-BNP	Bilan cardiaque selon besoin
Erythroïétinémie	Selon besoin lors de la majoration d'une anémie avec réticulocytes bas
Typage HLA intrafamilial	Au diagnostic et complété si nouveaux membres dans la fratrie
Études moléculaires. gènes de la globine ou autres gènes spécifiques	Au diagnostic et selon affection associée
Alpha-fœtoprotéine	Tous les 6 à 12 mois si risque d'hépatocarcinome

### 3.3 Actes techniques

<b>Actes</b>	<b>Situations particulières</b>
Ponction articulaire	Epanchement articulaire fébrile
Ponction biopsie hépatique	À discuter selon le contexte en raison du risque majoré chez l'adulte drépanocytaire
Pose de dispositif veineux site implantable ou création de fistule artério-veineuse	Accès veineux difficiles, chélation par déféroxamine (DFO) IV en continu
<b>Imagerie</b>	
Radiographies du thorax	Bilan initial et suivi
Radiographies du bassin et des hanches	Bilan initial et dépistage et suivi d'une ostéonécrose (ONA) de la tête fémorale
Radiographies de l'épaule	Bilan initial et suivi d'ONA de la tête humérale
Autres radiographies osseuses	Selon besoin
Échographie abdominale	Bilan initial et suivi Recherche de lithiase biliaire et évaluation initiale de la taille de la rate et de la morphologie rénale Echographie systématique semestrielle par un échographiste référent en hépatologie en cas de cirrhose
Échographie cardiaque	Bilan initial et suivi en cas d'anomalie
Scintigraphie myocardique	Signes d'ischémie myocardique
Échodoppler transcranien	Selon besoin recherche de macrovasculopathie
Echographie ostéo-articulaire	Suspicion d'ostéomyélite ou d'arthrite septique
Echographie rénale avec doppler	Bilan d'hématurie macroscopique
Doppler utérin	Suivi de grossesse mensuel ou plus rapproché selon besoin

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

<b>Actes</b>	<b>Situations particulières</b>
Angioscanner cérébral	Selon besoin en cas de céphalées, d'accidents neurologiques ancien ou récent ou de nécessité d'un traitement anticoagulant curatif
AngioIRM cérébrale	Idem, selon besoin
IRM cardiaque	Selon besoin, (hémosidérose)
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 des hanches, des épaules ou autres localisations osseuses	Recherche de complications infectieuses ou d'ONA radiologiquement silencieuse en cas de douleurs permanentes, d'une gêne fonctionnelle, ou d'une limitation d'amplitude
Panoramique dentaire et radio des sinus	Recherche préventive de foyer infectieux
<b>Autres examens</b>	
ECG, Holter	Bilan initial et suivi en cas de symptomatologie clinique ou d'anomalie
EFR avec mesure du coefficient de diffusion du CO, test de marche 6 minutes	Bilan initial et suivi d'une dyspnée ou après un syndrome thoracique
Examen ophtalmologique avec acuité visuelle et examen rétinien complet	Bilan initial et suivi annuel ou plus rapproché en cas d'anomalies
Angiographie rétinienne	En fonction des données du FO
Electrorétinogramme	Selon symptômes, tous les ans si diabète ou hyperchélation
Endoscopie œsogastrique	Suspicion d'hypertension portale (http) ou signes échographiques d'htp, suspicion d'ulcère gastroduodénal (consommation fréquente d'AINS)
Audiogramme avec impédancemétrie	En cas de vertige aigu ou de surdité brutale Suivi de traitement chélateur
Vidéonystagmographie	En cas de vertige aigu ou de surdité brutale
Oxymétrie nocturne et /ou polysomnographie nocturne	Selon besoin en cas de déclenchement nocturne de crises vaso-occlusives (CVO), de priapisme ou de ronflements

<b>Actes</b>	<b>Situations particulières</b>
Cryopréservation de gamètes	Traitement par hydroxycarbamide
Saignées	Selon indication spécialisée

### 3.4 Traitements

<b>Traitements pharmacologiques<sup>1</sup></b>	<b>Situations particulières</b>
Antalgiques non opioïdes, opioïdes faibles et opioïdes forts	Selon l'intensité et la durée de la douleur
AINS	En complément de traitement antalgique
Etiléfrine per os et injectable	Priapisme (hors AMM, non validé AFSSAPS)
Cyprotérone	Traitement temporaire complémentaire en cas de priapisme (hors AMM, non validé AFSSAPS)
5-alpha réductase	Traitement complémentaire en cas de priapisme (hors AMM, non validé AFSSAPS)
Antibiotiques	Selon besoin
Antipaludéens	Prophylaxie du paludisme ((non remboursé)
Antipyrétiques	Selon besoin
Anesthésiques locaux	Selon besoin
Antiseptiques locaux	Selon besoin
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

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

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

<b>Traitements pharmacologiques<sup>1</sup></b>	<b>Situations particulières</b>
Hydroxyzine	Selon besoin en complément d'un traitement antalgique en cas de CVO
Bêta2-mimétiques	Selon besoin en cas de syndrome thoracique aigu et traitement de l'asthme
Antihypertenseurs	Selon besoin, traitement de l'HTA IEC ou sartan pour le traitement de néphropathie
Hypouricémiants	Hyperuricémie
Suppléments calciques per os	Carence calcique documentée, en cas d'impossibilité d'augmenter les apports naturels et en cas de néphropathie drépanocytaire
Vitamines D, B6	Selon recommandations et besoin
Acide folique	Systématique
Vitamines A et E	Selon besoin
Vitamine C	Selon besoin à titre d'anti-oxydant (non remboursé)
Zinc élément	Selon besoin, ulcères cutanés
Magnésium	Selon besoin, traitement de la carence érythrocytaire
Hydroxycarbamide	Prévention des CVO douloureuses récurrentes et des syndromes thoraciques aigus graves
Médicaments chélateurs du fer	Hémochromatose post-transfusionnelle
Erythropoïétines	Selon besoin après avis spécialisé
Héparines de bas poids moléculaire	Prévention des accidents thrombo-emboliques lors de voyages en avion (non remboursé)
Suppléments hypercaloriques et hyperprotodiques	Selon besoin pour des patients dénutris (non remboursé)
Gélules de bicarbonates	En cas d'acidose
Contraceptifs oraux	Respect des contre indications habituelles

Traitements pharmacologiques <sup>1</sup>	Situations particulières
Acétate de méédroxyprogestérone im	Contraception en prévention des CVO
Progestatif implanté en intradermique	Contraception
Mifépristone	IVG au cas par cas

### 3.5 Autres traitements

Traitements	Situations particulières
Vaccins du calendrier vaccinal	Tous les patients
Vaccin anticoquelucheux acellulaire	Tous les patients
Vaccin BCG	Populations à risque
Vaccin anti-pneumococcique	Tous les patients
Vaccin anti-haemophilus influenzae b	Tous les patients
Vaccin antigrippal	Annuel
Vaccination VHB	Tous les patients
Vaccins antipapilloma virus	Cf. RCP
Vaccination anti-hépatite A	Pour les voyageurs en zone d'endémie (non remboursé)
Vaccin antityphoïdique, vaccin contre la fièvre jaune	Pour les voyageurs en zone d'endémie (non remboursé)
Solutés de perfusion	Selon besoin, hyperhydratation par voie iv ou sonde nasogastrique
Transfusions de culots globulaires	Selon besoin, culots globulaires phénotypés et compatibles sauf urgence
Echange transfusionnel manuel ou érythraphérèse	Selon indication spécialisée
Allogreffe de cellules souches hématopoïétiques	Selon indication spécialisée
Transplantation d'organe (foie, rein voire cœur)	Au cas par cas, parfois en urgence

### 3.6 Dispositifs médicaux et autres matériels

<b>Dispositifs médicaux et autres matériels</b>	<b>Situations particulières</b>
Mélange équimolaire oxygène protoxide d'azote (MEOPA)	Selon besoin à titre antalgique en milieu hospitalier en cas de CVO
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, Accès veineux difficiles, chélation par DFO IV continu,
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 cutanés
Drainage lymphatique Vacuum	Ulcères cutanés
Dispositif de compression veineuse	Ulcères de jambe
Orthèses	Complications ostéo-articulaires
Prothèses auditives amplificatrices	Perte auditive liée aux traitements chélateurs
Implants cochléaires	Idem (non remboursé)



Toutes les publications de la HAS sont téléchargeables sur  
[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)