
Surcharges en fer : aspects nouveaux sur leur prise en charge

PIERRE BRISSOT

Hôpital Pontchaillou - Rennes

Le domaine des surcharges en fer ne cesse de connaître des évolutions majeures non seulement dans la compréhension des mécanismes qui les sous-tendent mais aussi dans les modalités pratiques de leur prise en charge.

Nous aborderons ici certaines modalités émergentes de cette prise en charge, de manière « obligatoirement » succincte car les documents médico-scientifiques et/ou administratifs officiels devant les exprimer ne sont appelés à paraître que dans les prochaines semaines.

1. PRISE EN CHARGE DE L'HEMOCHROMATOSE LIEE AU GENE HFE

Les modalités de la prise en charge de l'hémochromatose HFE (ou hémochromatose de type 1) viennent de faire l'objet d'un travail approfondi de la part de l'HAS (Haute Autorité de Santé = ex ANAES). En effet sur la demande de l'AEF, l'HAS a réuni un groupe d'experts appartenant à des horizons différents (médecins spécialistes et généralistes, IDE, malades) qui ont, selon une méthodologie précise, proposé des recommandations qui seront très prochainement communiquées à tous les médecins français.

La base de ces recommandations est une nouvelle classification en 5 stades de l'expression phénotypique de l'hémochromatose ou plus précisément de l'homозиготie C282Y⁽¹⁾. Ainsi, le stade 0 ne se marque par aucune expression clinique ou biologique. Le stade 1 correspond uniquement à une augmentation du coefficient de saturation de la transferrine au-dessus de 45% ; le stade 2 à une augmentation conjointe de la saturation et de la ferritinémie (au-dessus de 300 g/L chez l'homme et de 200 g/L chez la femme), sans signes cliniques ; le stade 3 à une augmentation conjointe de la saturation et de la ferritinémie avec présence de signes cliniques affectant la qualité de vie mais sans compromettre le pronostic vital (asthénie, impuissance, arthralgies...). Le stade 4 correspond quant à lui à la forme pleinement exprimée de la maladie avec signes pouvant engager à terme le pronostic vital (cirrhose avec son risque de carcinome hépatocellulaire, diabète insulino-dépendant, cardiomyopathie).

Ainsi, en fonction du stade auquel le médecin est confronté, des recommandations de prise en charge ont été définies tant pour le bilan initial complémentaire qu'il convient de réaliser, que pour le schéma thérapeutique qu'il est proposé d'adopter et pour les modalités de suivi.

Les grandes lignes de ces recommandations seront présentées lors de l'exposé.

2. PRISE EN CHARGE DE LA SURCHARGE EN FER POST -TRANSFUSIONNELLE

La donnée nouvelle, en ce secteur, concerne l'approche thérapeutique de l'excès en fer.

Jusqu'à présent, deux types de médicaments étaient à disposition : i) la desferrioxamine (ou Desférал®) qui pour être efficace se doit d'être administrée par infusion sous-cutanée prolongée en recourant à une pompe ou un diffuseur portable. On imagine la contrainte que représente ce traitement surtout chez un enfant. ii) Le CP20 (ou L1 ou Déferiprone), commercialisé sous le nom de Ferriprox®, qui présente l'avantage majeur d'être administrable par voie orale. D'une efficacité certaine, ce médicament présente toutefois le désavantage de nécessiter une prise tri-quotidienne et l'inconvénient d'une tolérance problématique aux plans digestif et articulaire mais surtout au plan hématologique avec la survenue, exceptionnelle mais imprévisible, d'une agranulocytose. C'est pourquoi son indication se limite aujourd'hui aux contre-indications du Desférал®.

On comprend, dans ce contexte, que de grands efforts, scientifiques et financiers, aient été déployés ces dernières années pour mettre au point un chélateur proche de l'idéal, c.à.d. qui serait de prise orale quotidienne unique, efficace et bien toléré. L'ICL 670 (ou Déferasirox®, non encore commercialisé) pourrait s'approcher de ces critères⁽²⁾. De vastes études internationales viennent d'être réalisées, sous l'égide de Novartis, dont les résultats seront communiqués à l'ASH (American Society of Hematology) et évoqués lors du présent exposé.

REFERENCES

1. Brissot P, Troadec MC, Loréal O. The clinical relevance of new insights in iron transport and metabolism. *Curr hematol Rep.* 2004;3:107-15.
2. Cappellini MD. Iron-chelating therapy with the new oral agent ICL 670 (Exjade). *Best Pract Res Clin Haematol.* 2005;18:289-98.