

PRÉSENTATION DU CENTRE DE RÉFÉRENCE

DES APLASIES MÉDULLAIRES ACQUISES & CONSTITUTIONNELLES¹

Pr. Régis PEFFAULT DE LATOUR

Coordonnateur national - Service d'hématologie greffe
Hôpital Saint-Louis - 1, avenue Claude Vellefaux - 75010 PARIS
Tél : 01 42 49 96 39 - Mail : regis.peffaultdelatour@aphp.fr

SITE ADULTE

Hôpital Saint-Louis
Dr. Flore SICRE DE FONTBRUNE
1 avenue Claude Vellefaux, 75010 Paris
@ flore.sicre-de-fontbrune@aphp.fr

SITE PÉDIATRIQUE

Hôpital Robert Debré
Dr. Thierry LEBLANC
Bd Sérurier, 75019 Paris
@ thierry.leblanc@aphp.fr

Membre de la filière MaRIH www.marih.fr
Membre du Réseau Européen EuroBloodNet www.eurobloodnet.eu

1. Accueil du site du centre de référence des aplasie médullaires. [En ligne]. Disponible sur : <http://www.aplasiemedullaire.com>. [Consulté le 02/01/2020].



www.aplasiemedullaire.com



APLASIE
MÉDULLAIRE
centre de référence



Maladies prises en charge

■ Pour les formes acquises

- L'aplasie médullaire idiopathique
- L'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN)

■ Pour les formes constitutionnelles

- La maladie de Fanconi
- Les téloméropathies
- L'anémie de Blackfan Diamond
- Les amégacaryocytoses congénitales
- Autres pathologies responsables d'hypoplasies et d'aplasies médullaires



PLUS
D'INFORMATIONS
SUR LES
MALADIES

Sites internet :

www.aplasiemedullaire.com

www.orphanet.fr

Association HPN France-aplasie médullaire
www.hpnfrance.com

Association Française de la maladie de Fanconi
www.fanconi.com

Association Française de la maladie de Blackfan Diamond
www.afbmd.org

→ Ses actions :

Diagnostic et prise en charge multidisciplinaire

Au niveau des sites Saint-Louis et Robert Debré

■ Réunion nationale de concertation pluridisciplinaire (RCP)

Bimensuelle : 1^{er} et 3^e mercredis

- fiche de renseignements du patient à transmettre au centre de référence
- disponible sur le site internet / espace professionnel

■ Expertises téléphoniques ou mails en cas d'urgence thérapeutique

■ Consultations de deuxième avis

■ Hospitalisation pour les patients présentant des situations médicales complexes ou des pathologies rares

Exploration en HDJ, inclusion dans les protocoles thérapeutiques, traitement

immunosuppresseur, allogreffe de cellules souches hématopoïétiques pour les pathologies génétiques

■ Validation en France

- des prescriptions initiales² des médicaments à désignation orpheline (eculizumab : transmettre au Centre de Référence la fiche annexe IV, disponible dans l'espace professionnel du site internet)
- de l'indication du séquençage du génome dans le cadre du PFMG 2025 (RCP)

■ Carte d'urgence disponible sur demande

✉ **ADRESSE DU CENTRE DE RÉFÉRENCE :** cr.aplasiemedullaire.sls@aphp.fr

2. Circulaire DSS/1C/DGS/PP2/DHOS/E2 N° 2010-24 du 25 janvier 2010 relative à la validation des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins financés en sus des prestations d'hospitalisation.

Formation des professionnels de santé

- **Élaboration de bonnes pratiques cliniques ou de recommandations**
 - PNDS publié en août 2019 (sites HAS, CR, MaRIH)
 - Fiches de recommandations sur les différentes pathologies
- **Documents d'information destinés aux patients**
 - Livret d'information patient sur la prise en charge d'une aplasie médullaire
 - Fiches d'information disponibles par pathologie
- **Journée annuelle du centre de référence**
 - Organisée chaque année au mois d'octobre à Paris (inscription gratuite)
 - Public médical et scientifique en présence de représentants d'associations de patients
- **Newsletter biannuelle**
 - Axée sur les actualités du Centre
- **Communication/formation**
 - En partenariat avec la filière MaRIH

👉 **TOUS LES DOCUMENTS DISPONIBLES SUR LE SITE INTERNET ET SUR DEMANDE :**
cr.aplasiemedullaire.sls@aphp.fr

Développement de l'activité recherche

- **Développer et participer à des projets de recherche nationaux et européens**

Proposer et mettre en place des essais cliniques thérapeutiques (institutionnels, académiques, industriels) avec un objectif d'inclusion à la hauteur de la place du CR au niveau international.

👉 **DIFFUSION DES ESSAIS CLINIQUES AU NIVEAU DU SITE INTERNET**

- **Observatoire national des insuffisances médullaires et biobanque RIME**
 - Enregistrement de données cliniques et biologiques des patients atteints d'aplasie médullaire (recueil de la non opposition du patient)
 - Recueil d'échantillons biologiques dès le diagnostic et tout au long du suivi (consentement du patient)
- 👉 **Valorisation *via* des projets de recherches fondamentaux (études des mécanismes moléculaires) et translationnels (recherche de facteurs prédictifs de réponse aux traitements)**



Pour tout renseignement et demande de participation : cr.aplasiemedullaire.sls@aphp.fr

Rejoignez la liste de diffusion en vous inscrivant *via* le site internet
→ www.aplasiemedullaire.com
pour recevoir toutes les informations liées au centre de référence

CENTRE DE RÉFÉRENCE DES APLASIES MÉDULLAIRES

Pr. Régis PEFFAULT DE LATOUR

Dr. Flore SICRE DE FONTBRUNE

Dr. Thierry LEBLANC

Équipe du CR :

Isabelle BRINDEL , Lynda MAAFA, Martine OLOKO & Valérie REBEIX

@ cr.aplasiemedullaire.sls@aphp.fr

CENTRES DE COMPÉTENCES



1 Service d'Hématologie pédiatrique
Dr. Bénédicte BRUNO

Hôpital Jeanne de Flandre, Lille
☎ 03 20 44 46 62

1 Service de Médecine Interne, Lille
Dr. Louis TERRIOU

@ louis.terriou@chru-lille.fr

2 Service Hématologie adulte
Dr. Fiorenza BARRACO

@ fiorenza.barraco@chu-lyon.fr
CHU Lyon Sud, Pierre-Bénite

3 Service Hématologie - Oncologie pédiatrique
Dr. Arthur STERIN

@ Arthur.STERIN@ap-hm.fr
Hôpital de la Timone, Marseille

3 Département d'Hématologie adulte
Dr. Aude CHARBONNIER /
Dr. Yosr HICHERI

@ CHARBONNIERA@ipc.unicancer.fr
@ HICHERI@ipc.unicancer.fr
Institut Paoli Calmettes, Marseille

4 Service Hématologie clinique
et thérapie cellulaire adulte
Dr. Edouard FORCADE

@ edouard.forcade@chu-bordeaux.fr
Hôpital Haut-Lévêque, Bordeaux

5 Service Oncologie
et Hématologie clinique adulte
Dr. Patricia ZUNIC

@ patricia.zunic@chu-reunion.fr
CHU de La Réunion

6 Service d'Hématologie
et Oncologie pédiatrique
CHU de Fort de France,
Martinique

LABORATOIRES DE RÉFÉRENCE



• Laboratoire de référence national
pour la maladie de Fanconi
Pr. Jean SOULIER

Hôpital Saint-Louis, Paris

• Laboratoire de diagnostic
et de recherche pour l'anémie
de Blackfan-Diamond

Pr. Lydie DA COSTA
Évaluation de la longueur
des télomères
Dr. Elodie LAINEY
Hôpital Robert Debré, Paris

• Exploration moléculaires
des dyskératoses congénitales
Laboratoire de Génétique

Dr. Caroline KANNENGIESSER
Hôpital Bichat, Paris

• Laboratoire de référence
des pathologies du Complément
Dr. Véronique FRÉMEAUX-
BACCHI

Hôpital Georges Pompidou, Paris

• Laboratoire de cytométrie en flux,
recherche du clone HPN

Pr. Oriane WAGNER-BALLON
Hôpital Henri Mondor, Créteil

Dr. Magali LEGARFF-TAVERNIER
Hôpital Pitié-Salpêtrière, Paris