



HAL
open science

RaDiCo-ECYSCO, une cohorte européenne dédiée à la cystinose

A. Servais, Emma F, Georges Deschênes, A. Bertholet-Thomas, G. Ariceta, Elena N. Levtchenko, Novo R, Sandrine L, D Chauveau, Patrick Niaudet

► **To cite this version:**

A. Servais, Emma F, Georges Deschênes, A. Bertholet-Thomas, G. Ariceta, et al.. RaDiCo-ECYSCO, une cohorte européenne dédiée à la cystinose. Congrès Société Francophone de Néphrologie, Dialyse et Transplantation (SFNDT), Oct 2021, Toulouse, France. 10.1016/j.nephro.2021.07.293 . inserm-04056474

HAL Id: inserm-04056474

<https://inserm.hal.science/inserm-04056474>

Submitted on 3 Apr 2023

HAL is a multi-disciplinary open access archive for the deposit and dissemination of scientific research documents, whether they are published or not. The documents may come from teaching and research institutions in France or abroad, or from public or private research centers.

L'archive ouverte pluridisciplinaire **HAL**, est destinée au dépôt et à la diffusion de documents scientifiques de niveau recherche, publiés ou non, émanant des établissements d'enseignement et de recherche français ou étrangers, des laboratoires publics ou privés.

CO-27

RaDiCo-ECYSCO, une cohorte européenne dédiée à la cystinose

A. Servais^{1,*}, F. Emma², G. Deschenes³, A. Bertholet Thomas⁴, G. Ariceta⁵, E. Levchenko⁶, R. Novo⁷, L. Sandrine⁸, D. Chauveau⁹, P. Niaudet¹⁰

¹ Néphrologie et transplantation, hôpital Necker, AP-HP, Paris, France

² Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, Rome, Italie

³ Néphrologie pédiatrique, hôpital R.-Debré, AP-HP, Paris, France

⁴ Néphrologie pédiatrique, hôpital Femme-Mère-Enfant, Lyon, France

⁵ Hospital Universitario Vall D'Hebron, Barcelone, Espagne

⁶ Division of Pediatric Nephrology, University Hospitals Leuven, Department of Development and Regeneration, Katholieke Universiteit, Leuven, Belgique

⁷ Néphrologie pédiatrique, hôpital J.-De-Flandre, Lille, France

⁸ Néphrologie, hôpital É.-Herriot, hospices civils de Lyon, Lyon, France

⁹ Département de néphrologie, centre de référence maladies rénales rares, CHU Toulouse, Toulouse, France

¹⁰ Néphrologie pédiatrique, hôpital Necker, AP-HP, Paris, France

* Auteur correspondant.

Adresse e-mail : aude.servais@aphp.fr (A. Servais)

Introduction L'impact de la prise en charge thérapeutique de la cystinose et le suivi à long terme restent méconnus. ECYSCO est une cohorte européenne multicentrique longitudinale du programme RaDiCo.

Description Enfants et adultes avec un diagnostic de cystinose et suivis dans 27 centres français et 4 européens (Belgique, Italie, Espagne et Allemagne) ont été inclus.

Méthodes Les données sont collectées sur la plate-forme RaDiCo, via un e-CRF (REDCap).

Résultats Cent quarante-trois patients (51,5 % adultes) ont été inclus. L'âge médian au diagnostic était de 1,3 ans [IQ : 1,0 ; 2,0] et l'âge à l'inclusion de 19,1 ans [IQ : 11,9 ; 30,4]. À l'inclusion, 72 patients (50,3 %) avaient atteint le stade de l'insuffisance rénale terminale (IRT). Cinquante-quatre patients avaient reçu une transplantation, 12 en avaient reçu 2, et 3 en avaient reçu 3 successives. L'âge à l'IRT était de 12,2 ans [IQ : 9,8 ; 18,0]. Le DFG médian sur rein natif chez les autres enfants était de 58,7 mL/min/1,73 m² [IQ : 34,9 ; 82,6] et chez les adultes de 45,9 mL/min/1,73 m² [IQ : 42,4 ; 60,6]. Le taux de cystine intraleucocytaire était correct à 1,20 [IQ : 0,68 ; 2,23] nmol ½ cystine/mg protéine.

Quarante et un (28,7 %) des patients présentaient une hypothyroïdie, depuis un âge médian de 8,5 ans, 14 (9,7 %) un diabète, depuis un âge médian de 26 ans, 60 (51,7 %) des manifestations squelettiques, 15 (12,4 %) une atteinte musculaire, 21 (17,4 %) une atteinte neurologique.

Tous les patients sauf 6 ont été traités par cystéamine. Soixante-neuf étaient traités par Procysbi® et 66 par Cystagon® au dernier suivi. Au cours du suivi, le Cystagon® a été remplacé par le Procysbi® chez 56,3 % des patients. Cent trente et un patients (91,6 %) recevaient du collyre Cystadrops®.

Conclusion La majorité des patients atteints de cystinose sont désormais adultes et la moitié nécessite un traitement de suppléance. L'identification et le traitement des complications extra-rénales sont un enjeu majeur pour les équipes adultes.

Déclaration de liens d'intérêts Les auteurs déclarent ne pas avoir de liens d'intérêts.

<https://doi.org/10.1016/j.nephro.2021.07.293>

CO-28

Comparaison du risque hémorragique entre l'emploi de calciparine curative ou celui de tinzaparine chez 192 patients insuffisants rénaux sévères

E. Renaudineau*, A. Michel, S. Morice, L. Hudier, S. Mieli
CH Saint-Malo, Saint-Malo, France

* Auteur correspondant.

Adresse e-mail : e.renaudineau@ch-stmalo.fr (E. Renaudineau)

Introduction Nous avons progressivement remplacé la calciparine curative chez les patients insuffisants rénaux (IR) sévères par de la tinzaparine. L'emploi d'une héparine de bas poids moléculaire (HBPM) est habituellement contre indiquée chez l'IR sévère à cause d'un risque hémorragique plus grand. La tinzaparine est une HBPM particulière avec une élimination rénale faible lui conférant un intérêt particulier, à ce jour son emploi reste déconseillé dans cette indication.

Description Réalisation d'un recueil rétrospectif à partir du programme informatique de notre établissement portant sur des patients hospitalisés avec DFG < 30 mL/min au moment de l'introduction de l'anticoagulation. Nous avons défini 2 groupes : des patients avec IR chronique (DFG habituel < 30 mL/min) et des patients avec IR aiguë (DFG de base > 40 mL/min retrouvé à des valeurs < 30 mL/min au moment de l'introduction de l'anticoagulation).

Méthodes Étude monocentrique rétrospective portant sur 5 ans (du 1^{er} janvier 2016 au 31 décembre 2020). Critère principal de l'étude = évaluer le risque hémorragique sévère selon les critères définis par l'ISTH. Autres critères étudiés : risque hémorragique global, décès, accidents thrombotiques. Études statistiques en cours.

Résultats Groupe calciparine (n = 89) l'âge moyen est de 82 ans, durée de traitement de 7 jours, 50 patients présentaient une IR chronique. Une hémorragie sévère est retrouvée chez 7 patients (7,9 %) avec un total de 13 événements hémorragiques rapportés. Groupe tinzaparine (n = 103), âge moyen de 79 ans, durée moyenne de traitement de 11 jours, 76 patients avec IR chronique. On dénombre 16 cas de saignements dont 8 cas sévères (7,8 %).

Conclusion Notre étude ne montre pas de sur-risque hémorragique sévère lié à l'utilisation de tinzaparine comparativement à celui de calciparine chez des patients avec IR sévère. Nous avons décidé de poursuivre l'emploi en première intention de la tinzaparine.

Déclaration de liens d'intérêts Les auteurs déclarent ne pas avoir de liens d'intérêts.

<https://doi.org/10.1016/j.nephro.2021.07.294>