

# Sommaire



## Dossier du CNHIM 2023 Tome XLIV, 3

Le CNHIM est une association indépendante à but non lucratif (loi 1901) dont la vocation est de réaliser et diffuser une information rigoureuse et scientifique sur les thérapeutiques cliniquement validées. Tous les articles publiés dans Dossier du CNHIM sont le fruit d'un travail collectif, sur le fond et sur la forme, entre les auteurs signataires, le comité de rédaction, et la rédactrice en chef d'une part, le comité de lecture et certains experts spécialistes du sujet traité, d'autre part. Sur chaque sujet, Dossier du CNHIM ne publie donc pas les opinions de tel ou tel, mais réalise une analyse scientifique critique, la plus objective possible. Malgré tout le soin apporté à l'élaboration des articles de Dossier du CNHIM, une erreur peut se glisser dans les informations diffusées. Les lecteurs doivent donc conserver la plus grande vigilance dans l'exploitation des données à leur disposition.

**Directeur de la Publication :** Catherine Vourzay (Lezoux)

### Rédaction

**Rédactrice en chef :** Marie-Caroline Husson

**Comité de rédaction :** Mathieu Boulin (Dijon), Agnès Bonnin (Paris), Isabelle Fusier (Paris), Véronique Lecante (Montreuil), Emmanuelle Radideau (Corbeil), Corinne Tollier (Paris).

**Comité de lecture :** Corinne Guérin (Paris), Sofiane Kabiche (Bondy), Christine Le Beller (Paris), Virginie Nerich (Besançon), Arnaud Tanty (Grenoble).

**Experts relecteurs pour ce numéro :** Fabrice Camou (Bordeaux), Yahsou Delmas (Bordeaux), Ahmed Fakhry (Bordeaux), Lionel Galicier (Paris), Nahema Issa (Bordeaux), Pascale Poullin (Marseille), François Provot (Lille), Sophie Pujol (Bordeaux).

Rythme de parution : 6 numéros par an  
N° ISSN 0223,5242.  
N° de commission paritaire 0423 G 82049

**IMPRESSION :** Imprimerie GRAPHO12, 30 les Gaillagues, Saint-Rémy, 12200 Villefranche-de-Rouergue.

### CENTRE NATIONAL HOSPITALIER D'INFORMATION SUR LE MÉDICAMENT

[www.cnhim.org](http://www.cnhim.org)  
CNHIM - 75/77, rue du Père Coirentin - 75014 PARIS  
Tél. : 01 56 53 51 05 - Fax : 01 57 05 96 03  
Courriel : [secretariat@theriaque.org](mailto:secretariat@theriaque.org)

**Présidente :** Catherine Vourzay (EHPAD Lezoux)  
**Président fondateur :** André Mangeot †

### Conseil d'Administration

**Titulaires :** P. Bedouch (Grenoble), O. Bourdon (Paris), M. Boulin (Dijon), D. Cauet (Quimperlé), M. Cuggia (Rennes), X. Dode (Lyon), S. Drouot (Bicêtre), E. Dufay (Luneville), J.E. Fontan (Paris), F. Mille (Wissebourg), M.L. Mottier (Annecy), A. Potier (Lunéville), C. Vourzay (Lezoux).

**Suppléants :** A. Bacle (Rennes), E. Brudieu (Grenoble), J. Coutet (Chalon sur Saône), A. Cransac (Dijon), C. Duclos (Bobigny), M.C. Husson (Paris), E. Johns (Strasbourg), T. Le Marec (Paris), J-F. Meyer (Bondy), T. Tritz (Paris).

## Purpura thrombotique thrombocytopénique (PTT) chez l'adulte : place du caplacizumab

Olivier Gerbouin, Mickael Gigan, Pierre Pfirmann, Vanessa Augis, Constance Chevrier, Sarah Fontenay, Léa Champeyroux, Benjamin Sourisseau, Jérémie Chambord, Sarah Djabarouti, Fabien Xuereb et le comité de rédaction

<b>Editoriaux</b>	<b>1. Nahema Issa</b>	<b>3</b>
	<b>2. Pascale Poullin</b>	<b>4</b>
<b>En bref</b>	Marie-Caroline Husson	<b>5</b>
<b>Introduction</b>		<b>7</b>
<b>1. Description de la maladie traitée : le PTT</b>		<b>7</b>
1.1. Physiopathologie		7
1.2. Epidémiologie		9
1.3. Etiologies		9
1.4. Diagnostic		10
1.5. Evolution et pronostic		12
1.6. Surveillance post-PTT		14
1.7. Complications à long terme		14
<b>2. Prise en charge du PTT</b>		<b>14</b>
2.1. Prise en charge non médicamenteuse		14
2.1.1. Plasma thérapeutique dans le PTT		15
2.1.2. Echanges plasmatiques thérapeutiques dans le PTT		18
2.1.3. Stratégies de sauvetage		19
2.1.4. Splénectomie		20
2.2. Prise en charge médicamenteuse		20
2.2.1. Traitements symptomatiques		20
2.2.2. Traitement de la phase aigüe du PTT		21
2.2.2.1. Corticothérapie		21
2.2.2.2. Ciclosporine		23
2.2.2.3. Rituximab		26
2.2.2.4. Cyclophosphamide		32
2.2.2.5. Autres traitements de sauvetage des formes réfractaires parfois associés/utilisés		35
2.2.3. Caplacizumab		35
2.3. Recommandations américaines de la Société Internationale sur la Thrombose et l'Hémostase		46
2.4. Recommandations britanniques du National Institute for Health and Care Excellence (NICE)		46
2.5. Recommandations françaises		46
<b>3. Optimisation de l'utilisation du caplacizumab</b>		<b>48</b>
<b>4. Perspectives thérapeutiques</b>		<b>48</b>
4.1 Aptamères* (ARC1779, TAGX-004, BT200)		48
4.2. Anfibatide		48
4.3. N-acétyl-cystéine		49
4.4. BAX 930, r ADAMTS13		49
<b>Conclusion</b>		<b>49</b>
<b>Acronymes et/ou abréviations</b>		<b>50</b>
<b>Glossaire</b>		<b>50</b>
<b>Références bibliographiques</b>		<b>51</b>
<b>Annexe : Coordonnées du centre de référence, des centres de compétences et de l'association de patients</b>		<b>56</b>
Résumés des derniers numéros parus		61
Au sommaire de Dossier du CNHIM		62
Bulletin d'abonnement 2023		63

P  
O  
I  
N  
T  
S  
U  
R



Dossier du CNHIM participe à l'ISDB, réseau international de revues indépendantes de formation thérapeutique.

Le CNHIM a la propriété des textes publiés dans ce numéro et se réserve tous les droits de reproduction (même partielle), d'adaptation, de traduction, pour tous les pays et par quelque procédé que ce soit (loi du 11 mars 1957, art. 40 et 41 du Code Pénal art. 425).