

Journée annuelle du CRPP – 17 mars 2025



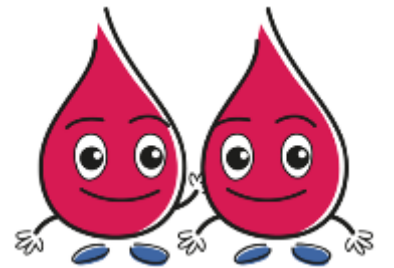
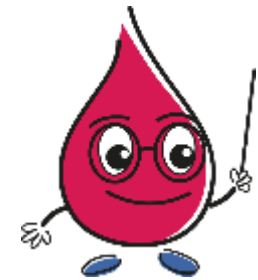
Programme

9h30 - 10h	Accueil des participants
10h - 11h	Ouverture de la journée Actualités CRPP (Paul Saultier, Céline Falaise, Stéphanie Alkoussa)
11h - 11h15	Actions de l'AFH pour l'année 2025 (Yannick Collé)
11h15-12h15	Conférence invitée Apport de la biologie fondamentale dans le diagnostic des pathologies plaquettaires génétiques (Hana Raslova)
12h15 - 14h	Déjeuner

14h - 15h40	Session Thématique «Diagnostic différentiel entre le PTI et les thrombopénies constitutionnelles » : • Vision du clinicien (Thierry Leblanc) • Illustration d'un cas frontière entre PTI et thrombopénie constitutionnelle (Manal Ibrahim-Kosta) • Vision de l'hémo-biologiste (Hélène Lapillonne) • Vision du chercheur : outils génétiques et résultats (Frédéric Rieux-Laucat)
15h40 - 16h10	Pause-café
16h10 - 16h45	Session Suivi des Études du CRPP : Avancées et Perspectives • AGRAD (Delphine Borgel) • ELPOT (Sophie Voisin) • Concizumab et Thrombasthénie de Glanzmann (Mathieu Fiore) • Thrombasthénie de Glanzmann et pathologies artérielles (Dominique Desprez)
16h45	Clôture de la journée (Paul Saultier)



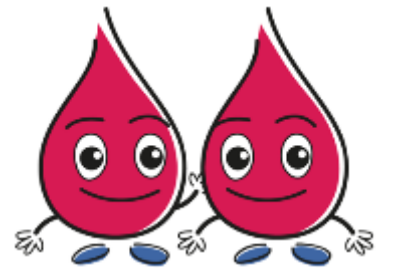
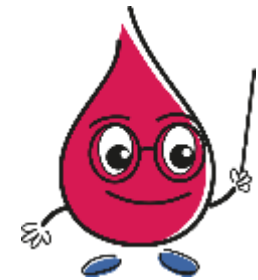
OUVERTURE DE LA JOURNÉE



17 mars 2025
Paris Trousseau



ACTUALITÉS



Céline Falaise, Paul Saultier, Stéphanie Alkousa

Journée annuelle du CRPP
17 mars 2025

ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostase et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostase et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



RCP Pathologie Plaquettaire 2024

- **Organisation de 3 RCP Pathologie Plaquettaire en 2024**

Entre 60 et 80 participants par RCP

- 10 dossiers de patients suivis pour une thrombopénie (WAS, BSS, ANKRD26, plaquettes grises...)
- 5 dossiers de patients suivis pour une Thrombopathie (Thrombasthénie de Glanzmann, Syndrome de Noonan,...)

4 cas pédiatriques et 11 cas adultes

RCP Pathologie Plaquettaire 2024

- **RCP URGENTE Pathologie Plaquettaire 2024**

3 RCP urgentes 1 patient atteint de BSS
1 patient atteint de Syndrome de Jacobsen
1 patient atteint de Thrombasthénie de Glanzmann

3 cas pédiatriques

- Procédure de demande :

- Demande auprès de l'équipe CRPP : paul.saultier@ap-hm.fr celine.falaise@ap-hm.fr stephanie.alkoussa@ap-hm.fr
- Coordonnateur et quorum déterminent date et créneau et envoient le lien de connexion
- Envoi par messagerie sécurisée des dossiers : celine.falaise@aphm.mssante.fr
- Pour toutes questions, merci de contacter l'adresse e-mail suivante : ghe.mhemo@chu-lyon.fr

ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostasie et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



PNDS

- **PNDS CRPP 2024-2025 : Thrombopénies constitutionnelles avec prédisposition aux hémopathies malignes (ANKRD26, ETV6 et RUNX1)**

Coordination : Hélène Boutroux et Paul Saultier



- **Groupe 1 : circonstances diagnostiques, diagnostic différentiel et examen clinique initial**
Responsable : Hélène Boutroux
- **Groupe 2 : Explorations biologiques, risque hémorragique : évaluation et prise en charge**
Responsable : Céline Falaise
- **Groupe 3 : Risque leucémique : évaluation, suivi, prise en charge**
Responsable : Paul Saultier

Implication de multiple spécialités / profils : pédiatres, internistes, hématologues adultes, hémostasiens, cytogénéticiens, biologistes moléculaires, médecin généraliste, représentants des patients (AFH)

Etat d'avancement actuel: Réunions de suivi de travail régulières.
Rédaction en cours ➔ Finalisation prévue pour mi 2025.

- **Participation à des PNDS**

- **Formes syndromiques d'albinisme oculo-cutané:** Pr Smail Hadj-Rabia (Necker)

Participation de Mathieu Fiore : revue de la littérature en cours

- **Syndrome de Lowe:** Pr Stephane Decramer (centre de référence SORARE, CHU Toulouse)

Participation de S Voisin, D Lasne et MC Alessi (rédaction de la partie hémostase achevée)
Relecture finale en cours.

- **Thrombasthénie de Glanzmann:** mise à jour prévue en 2025

ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostase et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



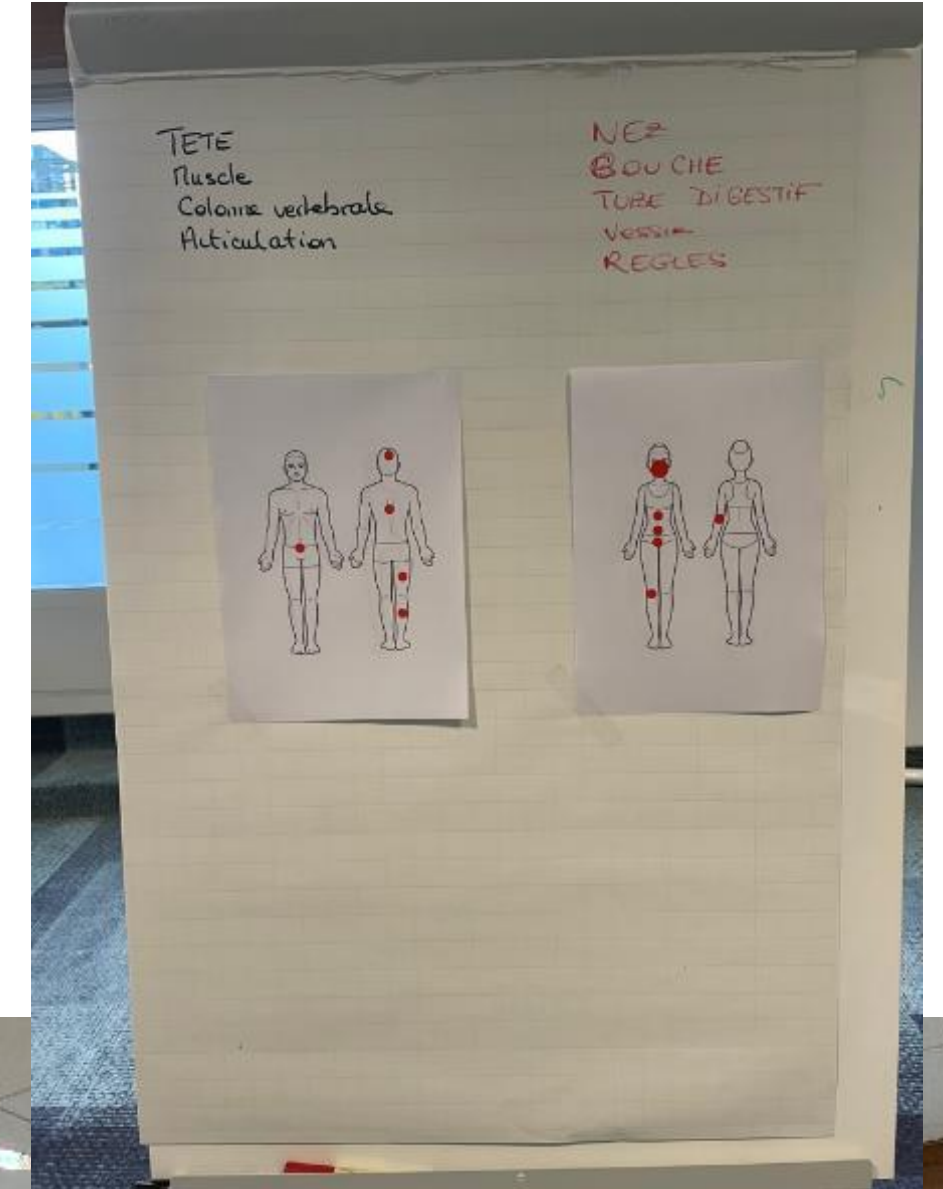
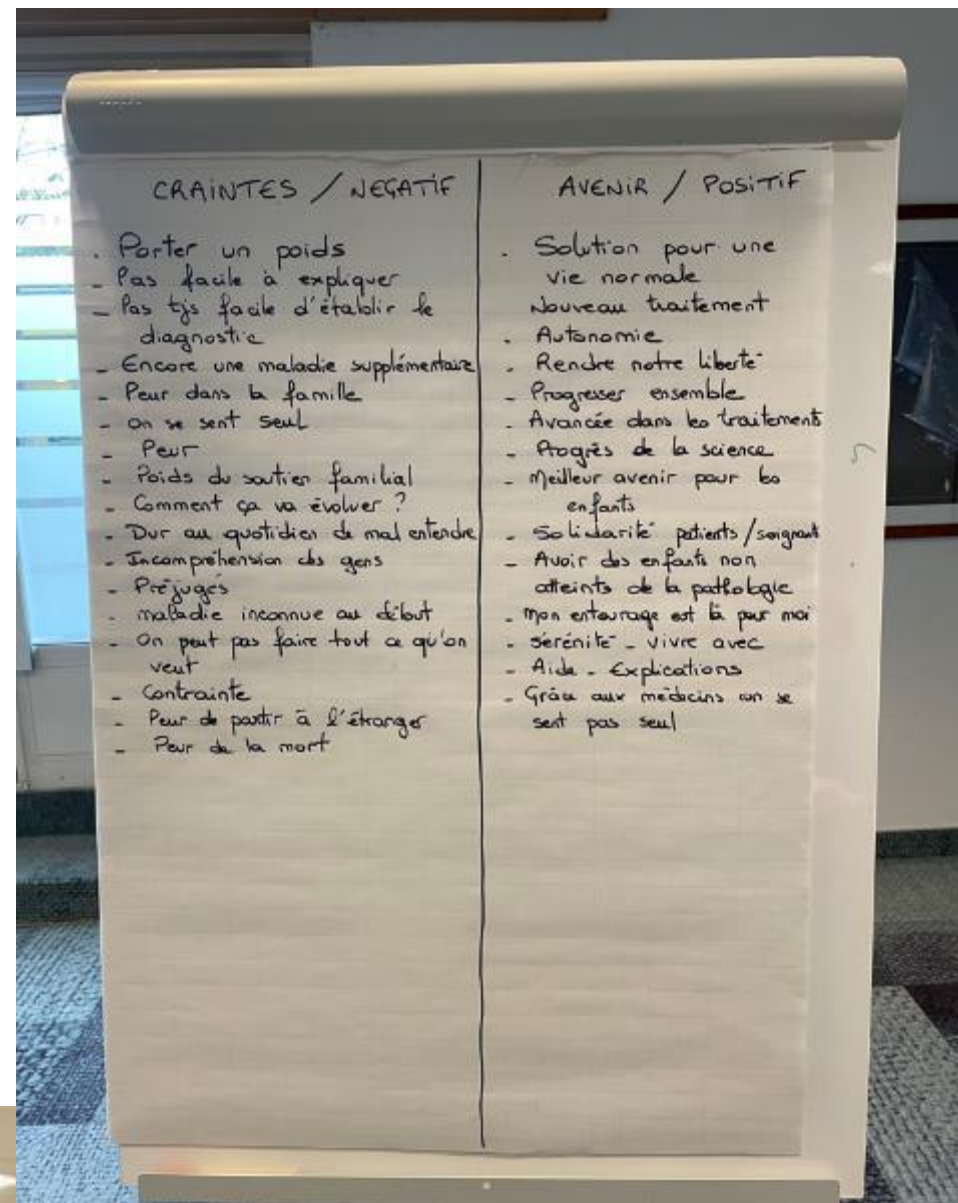
Education Thérapeutique



Journée national ETP pathologie plaquettaire

- 23 novembre 2024 à Rennes
 - CRPP + AFH nationale
 - 12 patients, équipe éducative multidisciplinaire (hémostasiens, infirmières, parent ressource et représentant associatif.)
 - Des ateliers adaptés au besoin des patients ont été organisés:
 - Comment je vis avec ma maladie
 - Faire face aux risques hémorragiques
 - Savoir parler de sa maladie
 - Gestion des saignements
 - Questions femmes
- ✓ Enrichir les connaissances des patients sur leur pathologie
 - ✓ Créer un espace d'échange et de partage pour des personnes confrontées aux pathologies plaquettaire

Prochain weekend ETP pathologie plaquettaire: 22-23 novembre 2025 à Lyon



ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostasie et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares – Océan indien

- 1er et 2 octobre 2024 à Saint Gilles Les Bains, La Réunion.
- Filières: MHEMO, MARIH et MCGRE
- Accompagnement des filières dans l'amélioration de la prise en charge des patients atteints des maladies rares de toute la région de l'océan Indien (La Réunion, Mayotte, l'île Maurice et Madagascar)
- Le CRPP, représenté par le Dr Paul Saultier, a participé à ce congrès :
« Diagnostic différentiel thrombopénie constitutionnelle et PTI »
- Retour sur le congrès :
<https://mhemo.fr/actualites/retour-sur-le-congres-maladies-rares-hematologiques-ocean-indien-2024/>



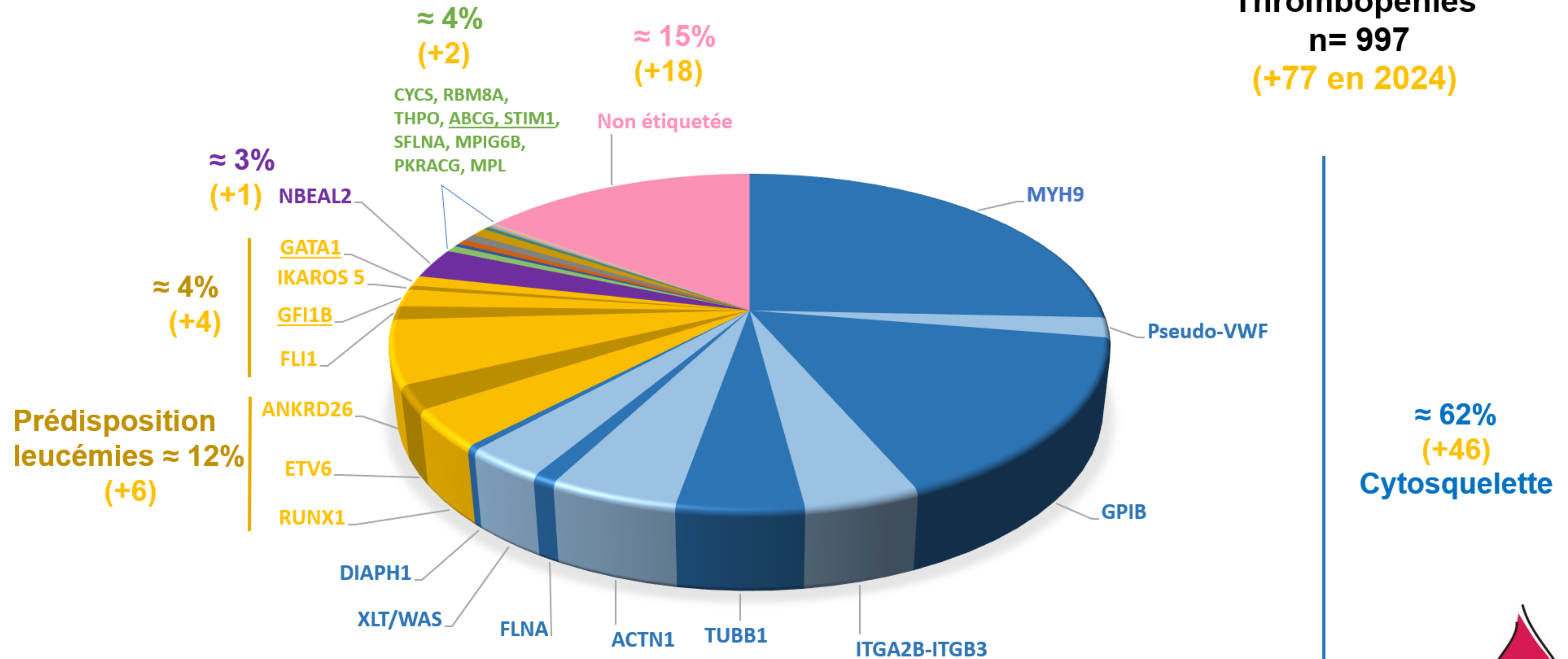
ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostase et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



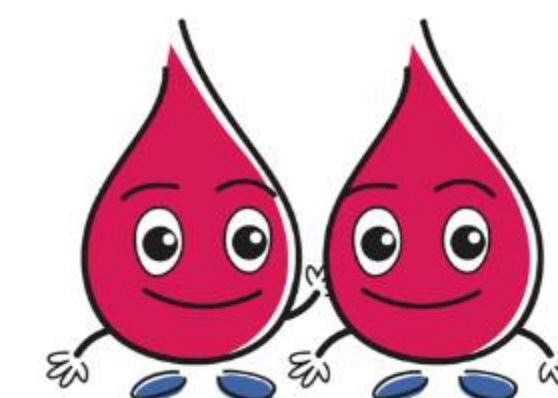
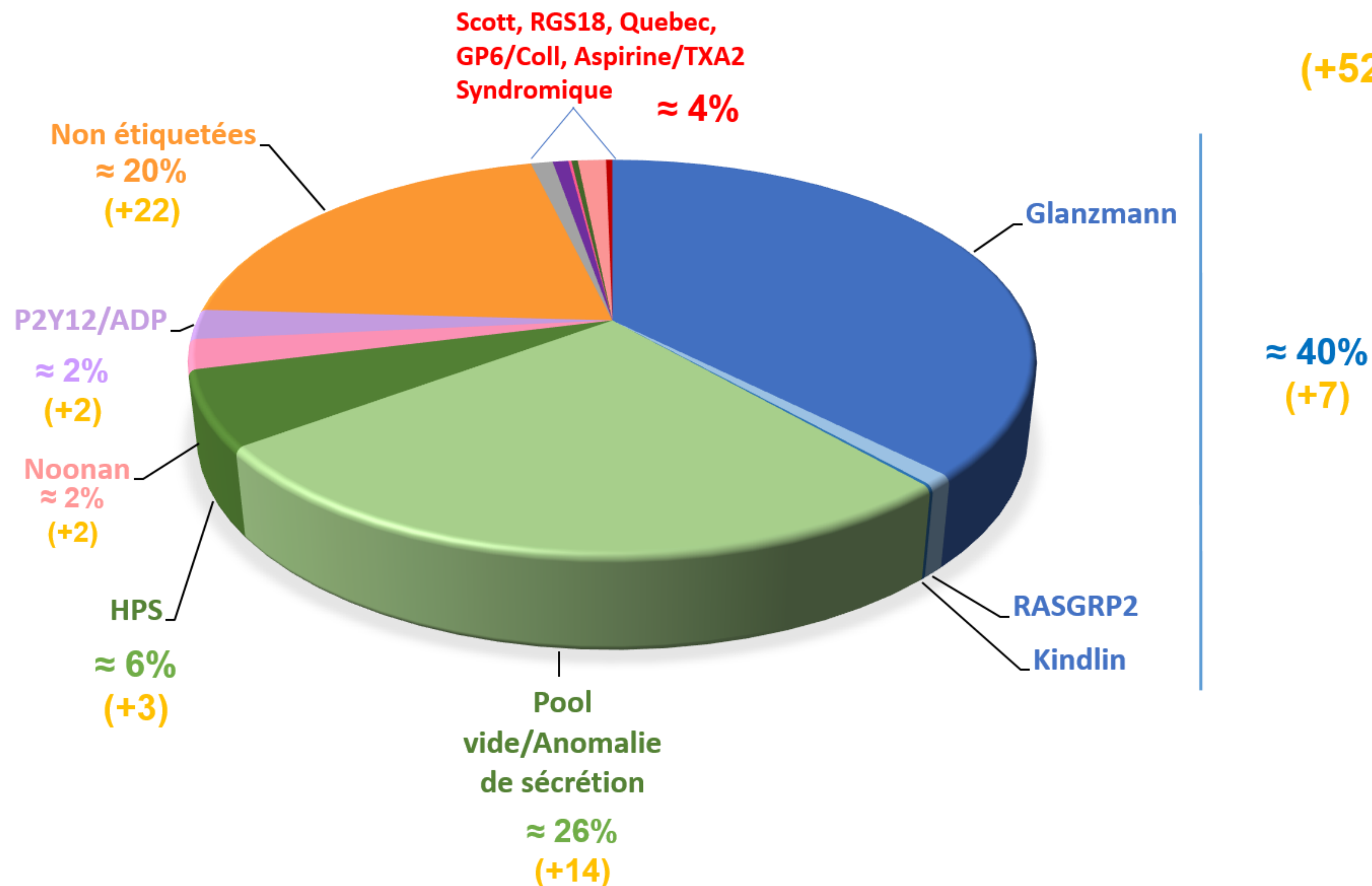
Cartes de Soins

Cartes de soins CRPP
Thrombopénies
n= 997
(+77 en 2024)



Cartes de Soins

Cartes de soins CRPP
Thrombopathies
n= 697
(+52 en 2024)



ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostasie et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



Site web du CRPP: www.maladies-plaquettes.org



VOUS ÊTES PROFESSIONNEL DE SANTÉ

Livret sur les pathologies

Cartes d'urgence

Les centres experts

PNDS

Traitement des pathologies plaquettaires

Plan d'Accueil Individualisé (PAI)

VOUS ÊTES PATIENT

Livret sur les pathologies

Association de patients

Education Thérapeutique du Patient (ETP)

Se rendre à une consultation

Accompagnement médico-social

Se préparer pour un voyage

PROTOCOLES DE RECHERCHE EN COURS

AGRAD

EVGPP

PHRC ELPOT

TAAS

SSC

Thrombopathies liées à ETV6

31

Centres

900

Patients

212

Médecins

30ans

d'expérience

LES NEWS DU CRPP

ACTUALITÉS
REDIFFUSION DU
WEBINAIRE CRPP-
ERN:
CONSTITUTIONAL
THROMBOCYTOPENIA

ACTUALITÉS
RETOUR SUR LE
CONGRÈS MALADIES
RARES
HÉMATOLOGIQUES «
OCÉAN INDIEN »

ACTUALITÉS
NEWSLETTER CRPP -
VOLUME 8

ACTUALITÉS
JOURNÉE
NATIONALE MHEMO

ACTUALITÉS
GUIDE PATIENTS:
PARTICIPER À UN
ESSAI CLINIQUE

VOLUME 8 • DECEMBRE 2024

LA NEWSLETTER DU CRPP

LE BULLETIN D'INFORMATION TRIMESTRIEL DU CRPP

JOURNÉE ANNUELLE DU CRPP

Le CRPP a le plaisir de vous convier à sa réunion annuelle :
Date: 17 mars 2025
Lieu: Amphithéâtre SORREL, Hôpital Armand Trousseau - Paris 12

Le programme et les modalités d'inscription vous seront communiqués bientôt.
Restez à l'écoute!

POINT BIBLIO

Cliquez sur les liens ci-dessous
Efficacy and safety of recombinant activated factor VII in Glanzmann thrombasthenia: A systematic literature review. Sautier et al, novembre 2024, Haemophilia.

A gain of function variant in RGS18 candidate for a familial mild bleeding syndrome. Vayne et al, octobre 2024, J Thromb Haemost.

Light transmission aggregometry for platelet function testing: position paper on current recommendations and French proposals for accreditation. Stéphanian et al, octobre 2024, Platelets.

WEBINAIRE "CONSTITUTIONAL THROMBOCYTOPENIA"

Le webinaire "Constitutional thrombocythopenia" touche à sa fin !
Rendez-vous le 18 décembre à 17h pour la dernière session intitulée "Transfusions de plaquettes et autres thérapies hémostatiques dans les thrombopénies héréditaires", animée par le Pr Andreas Greinacher.

Ne laissez pas passer cette opportunité !
Inscrivez-vous [ICI](#).

PROCHAINS CONGRÈS 2025

- SHIP : 16-17 janvier, Lille
- EAHAD : 4-7 février, Milan
- GTH : 18-21 février, Lausanne
- Journée annuelle CRPP : 17 mars, Paris
- Journée nationale MHEMO : 27 mars, en ligne
- SFH : 2-4 avril, Paris
- ISTH : 21-25 juin, Washington

PROCHAINES RCP 2025

- Pathologies plaquettaires : 21 janvier
- Impasse diagnostique: 28 janvier

ETUDES CLINIQUES EN COURS ET À VENIR DU CRPP

- Thrombasthénie de Glanzmann et thromboses artérielles** : Les patients atteints de TG peuvent présenter des thromboses artérielles, dont la prise en charge est complexe en raison de l'augmentation du risque hémorragique liée aux traitements anticoagulants et antiplaquettaires. Cette étude cherche à comprendre ces risques contradictoires en rassemblant les données françaises.
- EVGPP** : Ce projet permet l'étude de nouveaux variants génétiques impliqués dans les thrombopathies et thrombopénies héréditaires.
- Thrombopénie ETV6** : Cette étude vise à mieux comprendre l'histoire naturelle de la thrombopénie associée aux variants du gène ETV6.
- Étude HMB-001** : Cette étude porte sur un nouveau médicament (anticorps bispécifique administré par injection sous-cutanée) dont l'objectif est de prévenir les saignements chez les patients atteints de thrombasthénie de Glanzmann. Actuellement en phase précoce (Paris et Marseille), l'étude vise à évaluer la sécurité et l'efficacité de ce traitement.
- ELPOT/ELPOT extension** : Cette étude a évalué l'efficacité du ELTROMBOPAG pour limiter les transfusions chirurgicales. Son extension vise à recueillir des données sur les patients traités par ARTPO hors protocole ELPOT dans toute situation (chirurgicales ou autres) afin d'analyser son efficacité et sa sécurité.
- PlatNoon** : Ce projet vise à explorer l'association d'un risque hémorragique secondaire à une anomalie de l'hémostase, en particulier d'origine plaquettaire, dans les syndromes de Noonan. Il s'agit d'une étude rétrospective nationale prévoyant d'inclure environ 150 patients sur 12 mois. Les centres seront contactés en début d'année 2025 pour y participer.
- ALARM3** : Cette étude prospective vise à mieux comprendre l'évolution de la LAM chez les patients âgés de 0 à 25 ans. Une cohorte spécifique dédiée aux patients porteurs de syndrome de prédisposition peut être proposée aux patients porteurs d'une thrombopénie génétique liée aux variations des gènes ANKRD26, ETV6 et RUNX1.
- FranceCoag** : Depuis fin 2024, les patients atteints de pathologies plaquettaires peuvent être inclus dans le registre FranceCoag, un projet visant à mieux comprendre l'épidémiologie et les traitements de ces pathologies.

Centre de référence des pathologies plaquettaires
crpp.marseille@ap-hm.fr

LES PROCHAINS RENDEZ-VOUS

EAHAD 2025
February 4 - February 7
Milan

69ÈME RÉUNION ANNUELLE DE LA SOCIÉTÉ DE RECHERCHE SUR LA THROMBOSE ET L'HÉMOSTASE (GTH)
February 18 - February 21

JOURNÉE ANNUELLE CRPP 2025
March 17
Amphithéâtre SORREL

RCP HÉMORRAGIES DIGESTIVES
March 18 @ 17 h 30 min - 19 h 00 min
En ligne

SUIVEZ LE CRPP SUR LINKEDIN

Follow Us on LinkedIn

Centre de Référence des Pathologies Plaquettaires
Février 2025
[Read More](#)

JOURNÉE ANNUELLE DU CRPP 2025

DATE
17 MARS 2025

LIEU
AMPHITHÉÂTRE SORREL,
HÔPITAL ARMAND TROUSSEAU
26 AVENUE DU DOCTEUR ARNOLD NETTER
75012 PARIS CEDEX 12

INSCRIPTION

PROGRAMME

9h30 - 10h	Accueil des participants
10h - 10h30	Ouverture de la journée Actualités CRPP (Etienne Deshayes, Céline Fatah, Delphine Alcaraz)
10h30 - 11h30	Actions de l'APF pour l'année 2025 (Patrick Gode)
11h30 - 12h30	Conférence Invitée Apport de la biologie fondamentale dans le diagnostic des pathologies plaquettaires génétiques (Etienne Deshayes)
12h30 - 13h30	Déjeuner
13h30 - 14h30	Réunion Plénière (type d'agencement déterminé entre le PFI et les thrombopathies et thrombopénies héréditaires) • Vision du Docteur (Etienne Deshayes) • Thrombose, état des lieux, enjeux de la thrombose constitutionnelle (Philippe Baudouin) • Vision de l'hémorragie (Etienne Deshayes) • Vision du clinicien - rôle génétique et résultats (Prédic, Etienne Deshayes)
14h30 - 15h30	Prise de café
15h30 - 16h30	Réunion Plénière (type d'agencement déterminé entre le PFI et les thrombopathies et thrombopénies héréditaires) • AGAD (Etienne Deshayes) • ELPOT (Etienne Deshayes) • L'impact de l'immunothérapie de la thrombose (Etienne Deshayes) • Thrombopénies de la coagulation et pathologies artérielles (Etienne Deshayes)
16h30	Cérémonie de la journée (Prédic, Etienne Deshayes)

Embed LinkedIn Page Posts on your WordPress website

20

Site web du CRPP: www.maladies-plaquettes.org



Série de 15 Webinaires

Disponibles sur le site CRPP:



<https://maladies-plaquettes.org/webinaire-crpp-ern-constitutional-thrombocytopenia/>

ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostasie et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



DIU Hémostase Thrombose

- **Public visé**

- Formation continue : médecins de diverses spécialités, pharmacien
- Formation initiale : internes
- Profils variés : biologistes, internistes, anesthésistes, pédiatres, transfuseurs
- Parcours personnalisable : 10 parcours et 13 modules

- **Enseignement théorique**

- Chaque parcours est constitué de modules obligatoires et de modules facultatifs
- Enseignement en ligne via une plateforme unique (Université de Lille)

- **Ateliers pratiques**

- En présentiel en septembre

2024-2025

Module obligatoire	Nbre d'étudiants
1 Physiologie et exploration de l'hémostase	44
2 hémophilie et autres déficits	19
3 Maladie de Willebrand Pathologies plaquettaires	19
4 hémostase péri-opératoire	10
7 Assistance circulatoire	10
10 hémostase et cancer	8
12 Immuno-hémostase et thrombose	8

DIU Hémostase Thrombose

- **Universités partenaires**

Paris, Marseille, Lille, Bordeaux + Bruxelles et Genève

- **Composition du DIU**

10 parcours

- Médecine vasculaire et hémostase
- Médecine interne et hémostase
- Cardiologie et hémostase
- Hémostase périopératoire
- Maladies hémorragiques rares
- Hémostase de l'enfant
- Biologie et hémostase
- Transfusion et hémostase
- Pharmacologie de l'hémostase.

13 modules

- Physiologie et exploration de l'hémostase
- Hémophilie et autres déficits rares de la coagulation
- **Maladie de Willebrand et pathologies plaquettaires constitutionnelles**
- Hémostase périopératoire
- PSL et MDS
- Pathologies thrombotiques
- Assistance circulatoire, hémodialyse et hémostase
- Hémostase de l'enfant
- Femme et hémostase
- Hémostase et cancer
- Hémostase et populations particulières
- Immuno-hémostase et Thrombose

DIU Hémostase Thrombose »

I. Programme théorique (23,5 heures)

Cours proposés	Enseignant(e)s proposé(e)s	Durée (h)
Partie 1 : Mécanismes Généraux		
Thrombopoïèse et exploration	<i>H Raslova et C Léon</i>	2h
Physiologie de l'hémostase primaire et biologie des plaquettes	<i>B Payrastra et A Ribes</i>	2h
Plaquettes, endothélium, cellules circulantes, cancer et thrombose	<i>PE Morange B Ho-tin-Noe</i>	1h30
Exploration plaquettaire	<i>MC Alessi, M Kosta-Ibrahim A Ribes</i>	1h30
Partie 2 : Diagnostic		
Thrombopénie constitutionnelle, porte d'entrée de pathologie hématologique et non hématologique (hors syndrome MYH9 et WAS)	<i>P Saultier</i>	1h
Les principales thrombopathies	<i>S Voisin et A Ribes</i>	1h30
Diagnostic génétique des pathologies plaquettaires constitutionnelles : bénéfices et limites	<i>A Vincenot</i>	1h
Les thrombopénies constitutionnelles à plaquettes géantes (syndrome MYH9, Bernard Soulier, Sitostérolémie, ACTN1....)	<i>C Lavenu</i>	1h30
Les thrombopénies amégacaryocytaires et leur prise en charge	<i>H BOUTROUX</i>	1h30
Le syndrome de Wiskott Aldrich	<i>L Frenzel</i>	1h00
Partie 3 : Risque hémorragique et prise en charge		
Le risque hémorragique et sa gestion au cours des thrombopénies constitutionnelles incluant la prise en charge thérapeutique	<i>C Falaise</i>	1h30
Risque hémorragique et sa gestion dans les thrombopathies par anomalies de la GPIIb/IIIa	<i>M Fiore, D Desprez</i>	1h30
Traitement hémostatique et Transfusion : les règles à appliquer au cours des PPC	<i>C Humbrecht</i>	2h
Femme et pathologies plaquettaires constitutionnelles : CAT	<i>R D'oiron</i>	1h30
Agonistes de la thrombopoïétine au cours des PPC	<i>P Saultier</i>	1h
VIIa et son action sur les plaquettes	<i>M Fiore</i>	1h

II. Ateliers pratiques (6 heures)

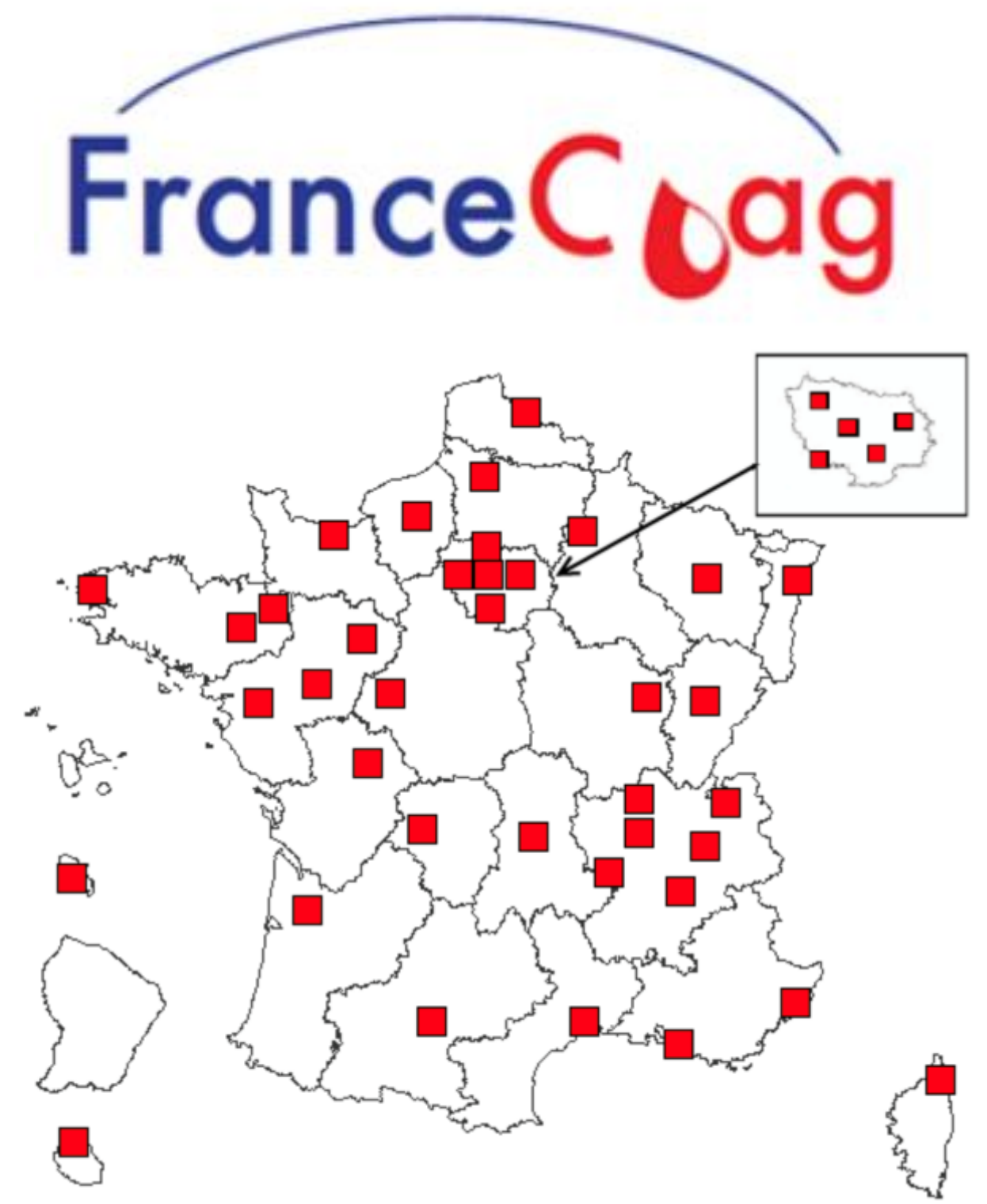
Thèmes	Enseignant(e)s	Durée (h)
Partie 1 : Analyses biologiques et génétiques		
Exploration plaquettaire : Méthodes et Interprétation	Sophie Voisin ; Mathieu Fiore	2h
Phénotyper la maladie de Willebrand	Emmanuelle Jeanpierre ; Agnès Veyradier	
Analyses génétiques : Comment identifier un variant pathogène	A Vincenot M Ibrahim/Catherine Ternisien Christophe Zawadzki	
Partie 2 : Risque hémorragique et prise en charge		
En urgence	Dominique Desprez/Marc Trossaert +Urgentiste Delphine Garrigue	2h
En situation chirurgicale	R D'oiron/ S Susen+Anesthésiste Anne Godier ou Stéphanie Rouillet	
En situation gynécologique et obstétricale	Dominique Desprez, Roseline d'Oiron +Gynécologue	
En situation d'hémorragie digestive	Antoine Rauch/Julien Branche	
Partie 3 : Parcours de soins à partir d'exemples choisis		
Le parcours de soins	Céline Falaise/Camille Paris	2h
L'enquête familiale	Céline Falaise/Camille Paris	
Critères de sévérité	Céline Falaise/Camille Paris	
Le suivi et prise en charge pluridisciplinaire	Paul Saultier/camille Paris	
L'éducation thérapeutique	Yohann Repesse+AFH	

ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostasie et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



- **Objectifs du projet : connaissances maladies hémorragiques**
 - Veille sanitaire
 - Outil de recherche ouvert
- **>14 000 patients suivis (~90 000 visites)**
 - Hémophilie A : ~8000 patients
 - Hémophilie B : ~2000 patients
 - Willebrand : ~3500 patients
 - Déficits rares apparentés : ~1000 patients
- **Depuis la version 3 en juillet 2024 :
intégration des pathologies plaquettaires**



Soutien à l'inclusion des patients CRPP

1) Financement FranceCoag

- **Financement MIG + partenariat industriel ~1M€**
→ Aide au centres saisie des données (ARC centres)
- **Contractualisation avec les centres** pour financement sur nombre de visites FC
- **Financement proportionnel aux files actives**

2) Financement MHEMO

- **Financement DGOS délégué à MHEMO** pour remplissage FranceCoag (et BaMaRa)
- **Modalités :**
 - Financement exceptionnel versé en 2025 destiné à soutenir le déploiement aux pathologies plaquettaires
 - Chaque centre a été contacté par MHEMO avec l'information du montant du financement
 - Reversement MHEMO → FranceCoag (APHM) → Centres



Modifications récentes pour les pathologies plaquettaires

- Ajout du type de Glanzmann
- Ajout d'un champ « gènes mutés » sur le questionnaire « caractéristiques générale » (possibilité de « gène non connu »)
- Maladie hémorragique constitutionnelle justifiant l'inclusion = maladie Orphanet se référer au guide de codage BaMaRa de MHEMO récentes principales

98456	Maladies hémorragiques rares par thrombopathie dues à une anomalie des granules denses
420566	Troubles hémorragiques par déficit en CalDAG-GEFI (RASGRP2)
849	Thrombasthénie de Glanzmann (ITGA2B, ITGB3)

- Suppression de la variable « Groupe de pathologies plaquettaires » (thrombopénie ou thrombopathie)



ACTUALITÉS DU CRPP

1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostase et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



Observatoire du traitement

- **rFVIIa et Glanzmann**

- Publication
- Réflexion en cours sur la possibilité d'évolution du cadre de prescription avec les responsables MHEMO de l'Observatoire du Traitement (Laura Tourvieilhe et Valérie Chamouard)

- **Pour les autres (ARTPO, concizumab, etc.)**

- Revue de la littérature ARTPO
- RCP CRPP avec discussion sur les prescriptions hors AMM

Received: 29 June 2024 | Revised: 8 October 2024 | Accepted: 10 November 2024

DOI: 10.1111/hae.15130

REVIEW ARTICLE

Haemophilia  WILEY

Efficacy and safety of recombinant activated factor VII in Glanzmann thrombasthenia: A systematic literature review

Paul Saultier¹ | Michel Grino² | Céline Falaise³ | Sophie Voisin⁴ |
Cécile Lavenu-Bombled⁵ | Manal Ibrahim-Kosta⁶ | Audrey Petit³ | Hélène Boutroux⁷ |
Dominique Desprez⁸ | Mathieu Fiore⁹ | Roseline d'Oiron⁵ |
Marie-Christine Alessi⁶

ACTUALITÉS DU CRPP

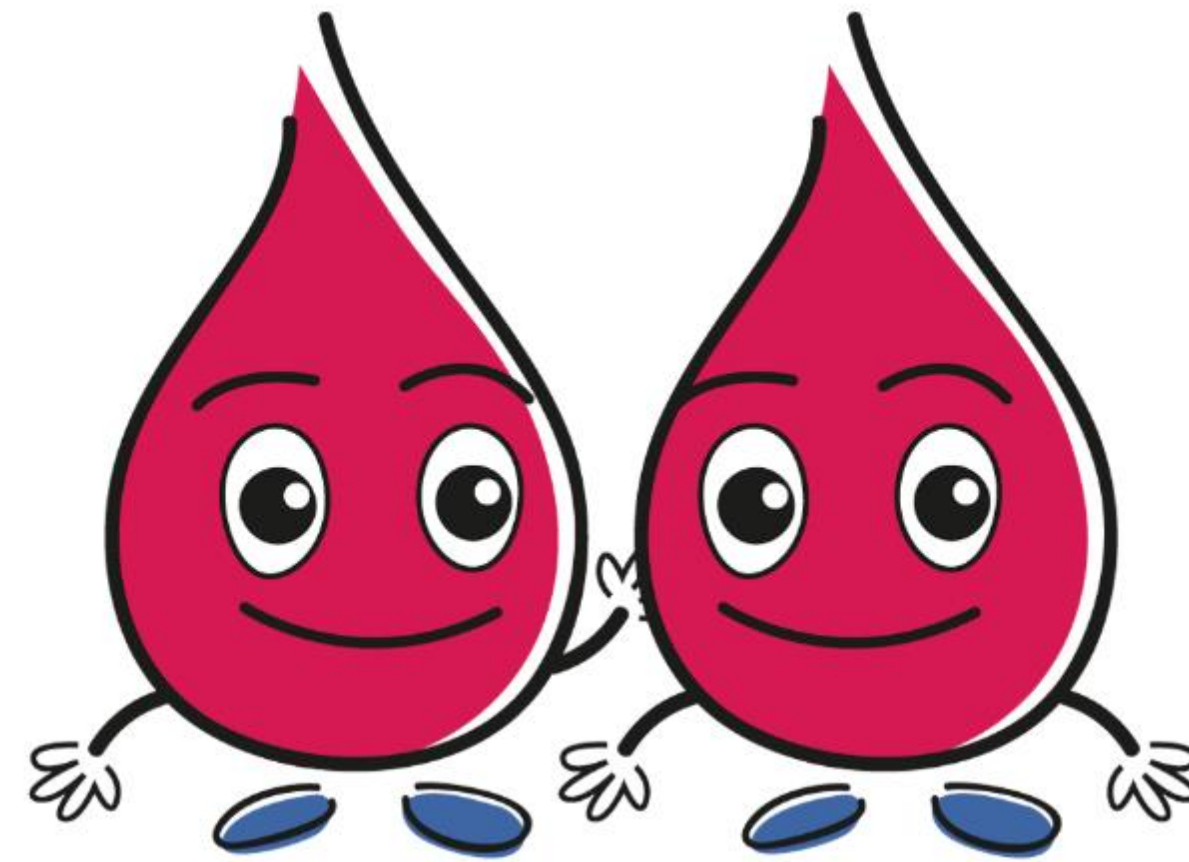
1. RCP Pathologie Plaquettaire
2. PNDS
3. Éducation thérapeutique des patients
4. Participation au premier congrès multi-filières des maladies hématologiques rares
5. Cartes de soin
6. Site web
7. DIU hémostasie et thrombose
8. FranceCoag
9. Observatoire des traitements
10. Projets 2025



Projets 2025

- Relais de la coordination du CRPP de Marie-Christine Alessi à Paul Saultier
- Finalisation du PNDS thrombopénie avec prédisposition leucémies
- Etudes en cours :
 - Patients porteurs d'un variant ETV6
 - Thromboses artérielles et Glanzmann (GlanzArter)
 - Extension ELPOT (ARTIC)
 - Concizumab et Glanzmann
- Evolution du cadre de prescription du rFVIIa
- Mise en place d'un registre génétique des pathologies plaquettaires
- Week-end ETP 2025 à Lyon 22-23 novembre 2025
- Organisation webinaire sur les thrombopathies
- Inclusion dans FranceCoag





Merci de votre attention !