



Filière de santé Maladies Rares ImmunoHématologiques

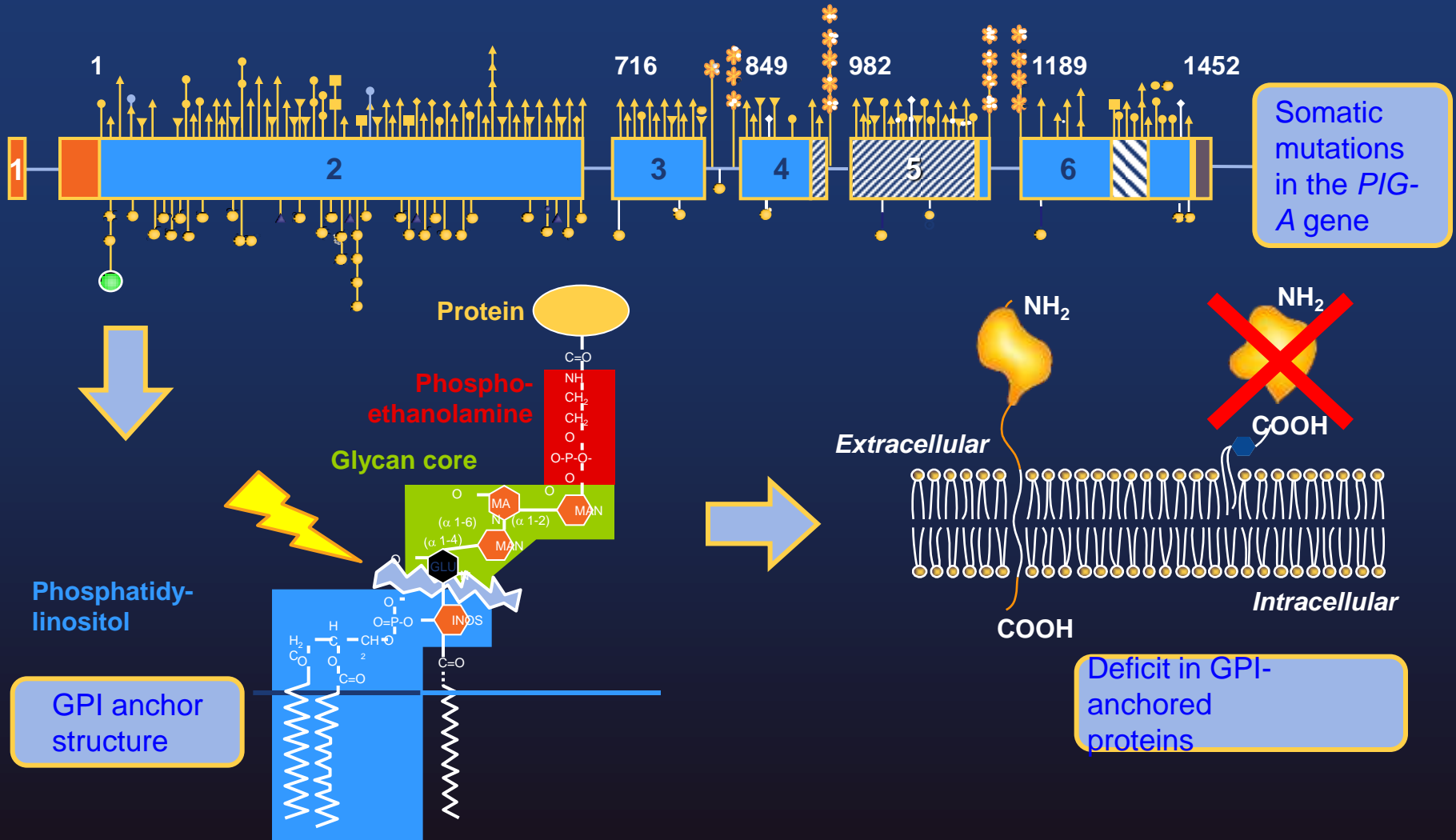
---

## **Un clone HPN ? And so what ?**

---

Régis Peffault de Latour  
Centre de référence aplasie médullaire – HPN  
Hôpital Saint-Louis

# Pathophysiology

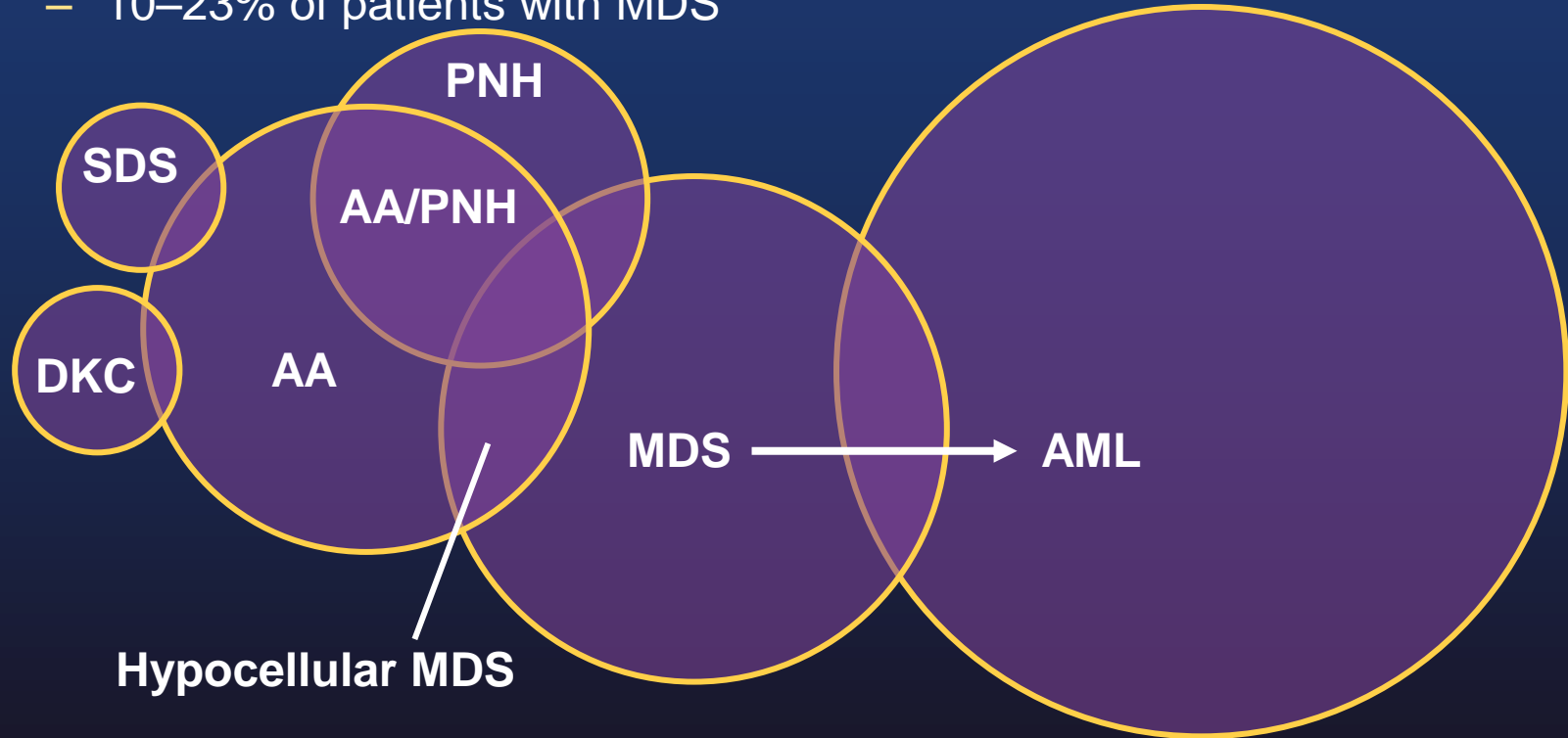


PNH, paroxysmal nocturnal haemoglobinuria;  
 PIG-A, phosphatidylinositol glycan class A; GPI, glycosylphosphatidylinositol

Young NS *et al.* *Hematology Am Soc Hematol Educ Program* 2000:18–38

# Expansion of PNH Clone

- PNH clone is more common in patients with bone marrow failure syndromes<sup>2-5</sup>
  - 25–45% of patients with aplastic anaemia
  - 10–23% of patients with MDS



AA, aplastic anaemia; AML, acute myelogenous leukaemia;  
DKC, dyskeratosis congenita; SDS, Shwachman-Diamond syndrome;  
MDS, myelodysplastic syndrome;  
PNH, paroxysmal nocturnal haemoglobinuria

Young, NS *et al. Blood* 2006;108:2509-2519

1. Araten DJ *et al. Proc Natl Acad Sci USA* 1999;96:5209-14;
2. Johnson RJ, Hillmen P. *Mol Pathol* 2002;55:145-52;
3. Wang H *et al. Blood* 2002;100:3897-902;
4. Iwanga M *et al. Br J Haematol* 1998;102:465-74;
5. Maciejewski JP *et al. Br J Haematol* 2001;115:1015-22

# Clone HPN: Message #1

Maladie acquise

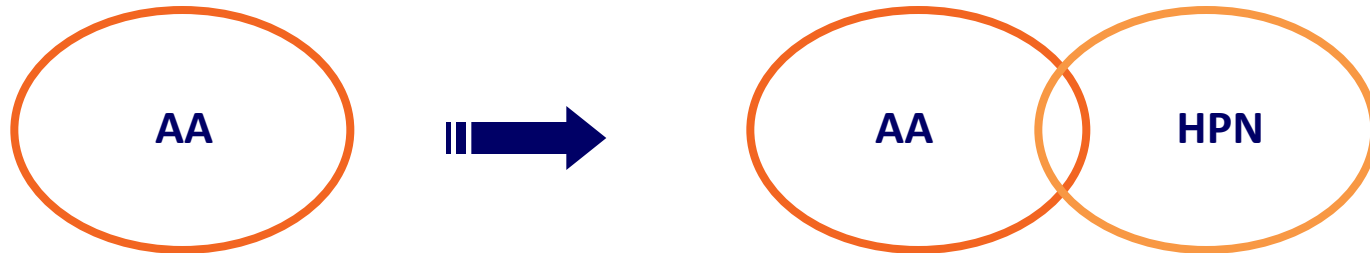
« Mon cher Régis, en médecine, on ne peut jamais dire jamais »

*T. Leblanc (RCP Aplasie Médullaire)*

# Clone HPN

## PNH after aplastic anemia

Groups	Refs	N / total (%)
Basel	<i>Br.J.Haematol</i> 1988	25%
EBMT	<i>Br J Haematol</i> 1989	20%
French	<i>Blood</i> 1990	10%
SFH	<i>Lancet</i> 1996	30%



# Clone HPN: Message #2

Aplasia médullaire et HPN sont liées

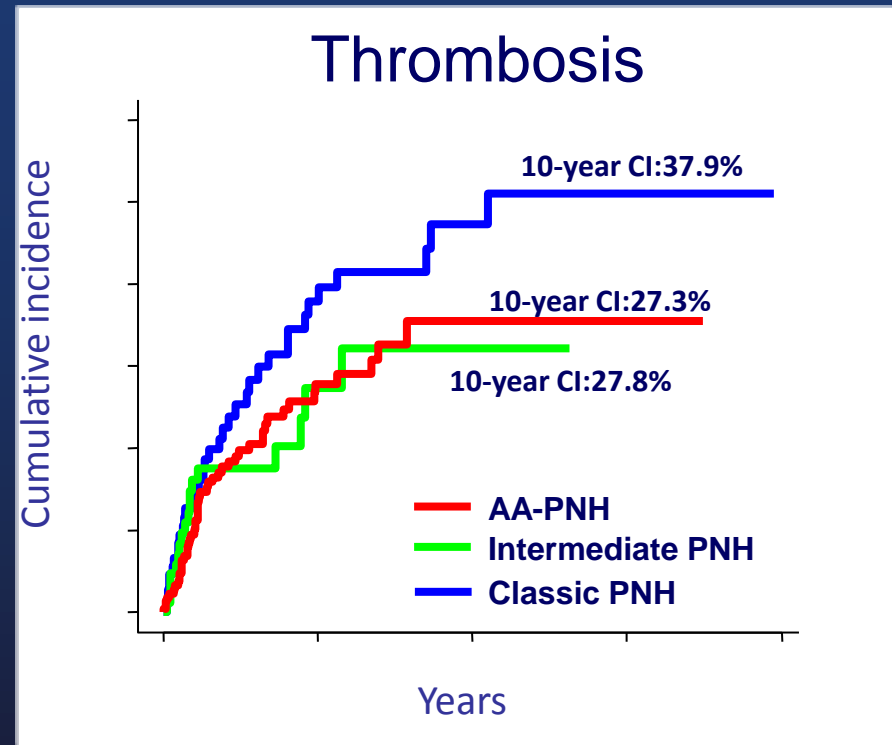
Aplastic anemia: 30-40% of the patients will have a PNH clone (diagnosis or evolution)

and

20% of patients with AA **AND** PNH will present a typical « classic PNH »

# Trombosis in PNH

Thrombosis Risk Factors	RR	<i>p</i>
Age >55	1.8	.01
Thrombosis (DG)	3.7	<.001
Warfarin (prophylaxis)	5.2	<.001
Transfusions	1.7	.01
IST	0.5	.02



- **Thrombosis**
  - ✓ CI ~ 30% in AA-PNH (!)
  - ✓ No prophylaxis (Eculizumab?)
  - ✓ The major life-threatening complication affecting outcome in PNH

# Clone HPN: Message #3

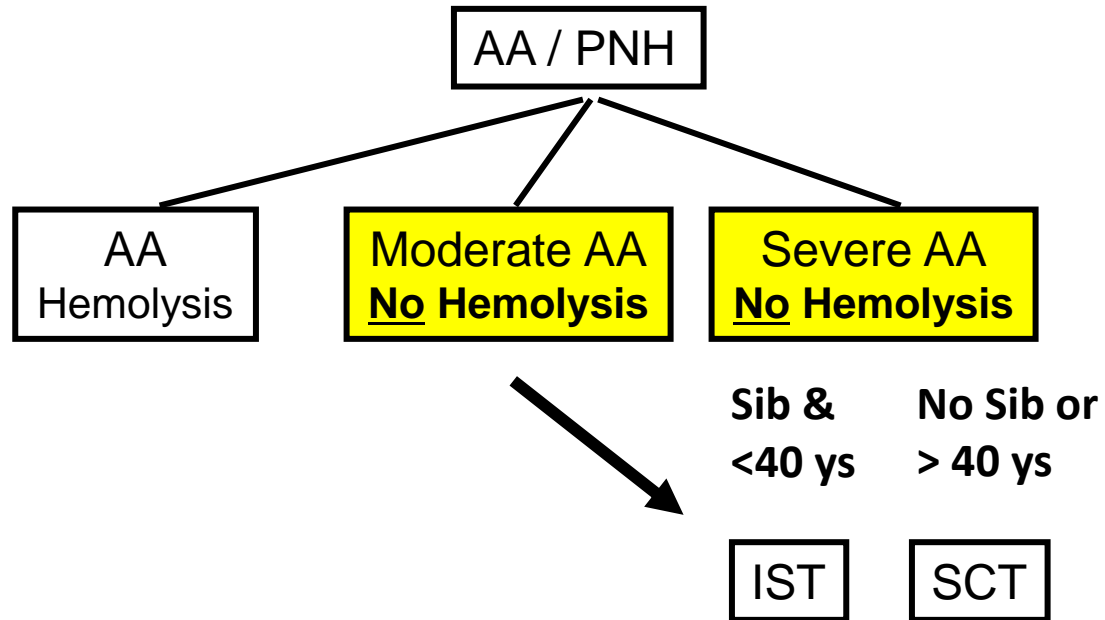
HPN = risque de thrombose

Si clone HPN toujours rechercher une thrombose si la clinique l'évoque



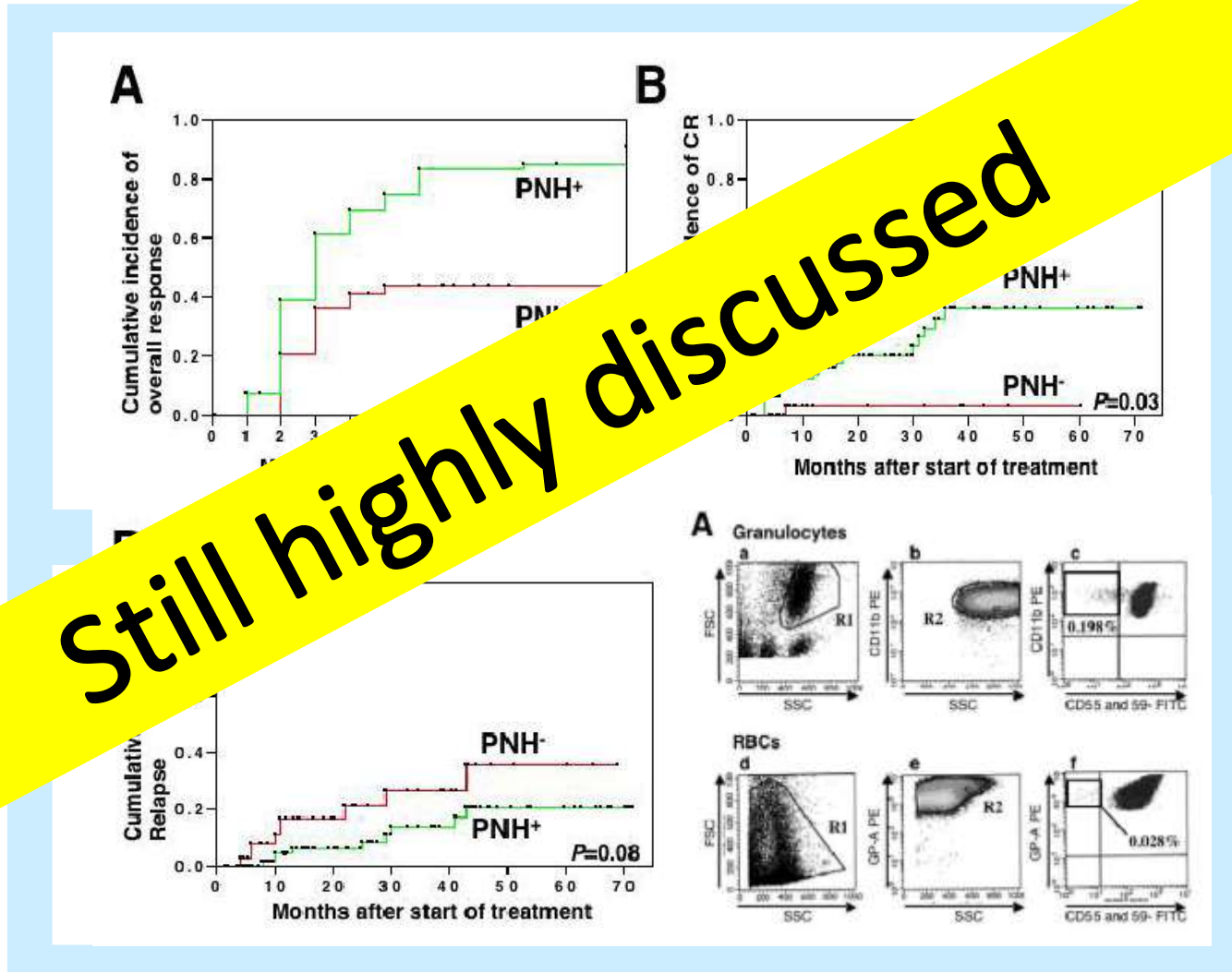
# Clone HPN: Message #4

AA HPN sans hémolyse = AA sans HPN



# Clone HPN: Message #5

AA avec ou sans HPN = réponses similaires



Still highly discussed

# Clone HPN: Conclusions

1: aplasie médullaire idiopathique

2: 30-40% des aplasies auront un clone au DG ou durant l'évolution et 20% des aplasies médullaires sévères évolueront vers une HPN classique hémolytique

3: Clone HPN = risque thrombotique

4: Aplasie avec clone HPN sans hémolyse = traitement identique à aplasie médullaire sans clone HPN

# Agonistes de TPO et aplasie médullaire

## Cas difficiles



**DÉFINITION DE L'APLASIE** | **LES DIFFÉRENTES PATHOLOGIES** | **LES EXAMENS** | **LES TRAITEMENTS** | **TROUVER UN CENTRE** | **REJOINDRE UNE ASSOCIATION**

**RCP**

**Date de la prochaine RCP**  
**MERCREDI 05/04/2017 À 14H30**  
**HOPITAL SAINT-LOUIS**

**INFORMATIONS PROFESSIONNELLES**  
[SE CONNECTER](#) | [S'INSCRIRE](#)

**AGENDA**  
[Lire la suite](#)

**ACTUALITÉS CENTRE DE RÉFÉRENCE**  
actualités Centre de référence  
[Lire la suite](#)

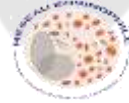
**ACTUALITÉS ASSOCIATIONS**  
actualités Associations  
[Lire la suite](#)

EN COLLABORATION AVEC :



Liberté • Égalité • Fraternité  
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

MINISTÈRE  
DES AFFAIRES SOCIALES  
ET DE LA SANTÉ



Centre expert des neutropénies chroniques  
Centre expert de la maladie de Castleman



Filière de santé Maladies Rares Immuno-Hématologiques



[www.marih.fr](http://www.marih.fr) - [contact@marih.fr](mailto:contact@marih.fr)

