

# **Synthèse à destination du médecin traitant**

**Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS)**

Sclérodermie systémique (ScS)

## Sommaire

Synthèse à destination du médecin traitant .....	3
1. Évaluation initiale.....	3
2. Prise en charge thérapeutique .....	3
3. Suivi .....	4
Figure 1. Recommandations pour l'évaluation initiale et le suivi des patients atteints de sclérodémie systémique .....	6

## Synthèse à destination du médecin traitant

La Sclérodémie systémique (ScS) est une affection généralisée du tissu conjonctif, des artérioles et des micro-vaisseaux, caractérisée par la survenue de phénomènes de fibrose et d'oblitération vasculaire. Il existe deux formes phénotypiques principales de ScS : une forme cutanée diffuse qui s'étend vers la région proximale des membres et/ou du tronc, et une forme cutanée limitée où la sclérose cutanée ne touche que les extrémités des membres (sans aller au-delà des coudes et des genoux). Il existe aussi dans moins de 10% des cas des formes qui n'intéressent jamais la peau. On parle alors de ScS *sine scleroderma*.

Le pronostic dépend essentiellement de la survenue d'atteintes viscérales et plus particulièrement d'une pneumopathie infiltrante diffuse (PID) parfois sévère, d'une hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) ou d'une atteinte cardiaque primitive, qui représentent les 3 premières causes de mortalité au cours de la ScS. Autre atteinte de mauvais pronostic, la crise rénale sclérodermique est rare (moins de 5% des cas). L'extension cutanée est aussi un paramètre important, les formes cutanées diffuses ayant un moins bon pronostic.

### 1. Évaluation initiale

La gravité des atteintes viscérales justifie de les rechercher systématiquement et de façon répétée par un interrogatoire dirigé, un examen clinique et des examens complémentaires, y compris en l'absence de symptomatologie évocatrice. En effet, leur prise en charge précoce est un facteur déterminant pour la survie des patients (Figure 1).

### 2. Prise en charge thérapeutique

Les traitements de fond peuvent être proposés en fonction du type de présentation clinique et des éventuelles atteintes viscérales.

À ce jour, aucun traitement de fond anti-fibrosant ou immunosuppresseur en monothérapie n'a permis d'obtenir une amélioration de la survie dans une étude prospective randomisée. L'utilisation du cyclophosphamide à très fortes doses lors des procédures de conditionnement intensif à visée myélosuppressive ou myélo-ablative (selon le type de conditionnement) avec ou sans sérum antilymphocytaire suivi de greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) autologues a fait la preuve de son efficacité en terme de survie sans évènement et de survie globale dans trois essais randomisés (ASSIT, ASTIS et SCOTT). Ces procédures thérapeutiques sont réservées aux formes sévères, rapidement progressives, après sélection rigoureuse des patients et doivent être effectuées dans des centres experts accrédités pour ces procédures.

Des thérapeutiques non pharmacologiques (comme la rééducation fonctionnelle) sont dans tous les cas recommandées pour lutter contre le handicap.

L'éducation thérapeutique du patient (ETP) doit veiller à ce que le patient ayant une ScS et ses proches aient une bonne compréhension de la maladie. L'ETP est complémentaire et indissociable des traitements et des soins. Elle peut aider à soulager les symptômes et à la prévention des complications. L'ETP participe à l'amélioration de la santé du patient et à l'amélioration de sa qualité de vie et de celle de ses proches. L'ETP permet aux patients d'acquérir et de maintenir des compétences dont ils ont besoin pour gérer au mieux leur vie avec une maladie chronique (voir Chapitre 5.3).

L'information doit porter :

- Sur les différents types de ScS, leurs symptômes, en précisant les signes d'alarme : apparition d'une dyspnée, d'une HTA, d'une insuffisance rénale, aggravation du phénomène de Raynaud et apparition d'un ulcère digital, apparition d'une anémie, de malaises, de lipothymies, apparition de troubles digestifs sévères comme un état occlusif, une diarrhée profuse, une dysphagie... qui doivent conduire à une consultation rapide. Toute modification ou aggravation de la symptomatologie doit motiver une consultation ;
- Sur les traitements disponibles et prescrits, les effets indésirables possibles du (des) traitement(s) reçu(s) par le patient ;
- Sur la planification des examens complémentaires pertinents pour dépister des complications éventuelles et les résultats attendus.

#### Associations de patients

Les professionnels de santé et les patients doivent être informés de l'existence des associations de patients, des sites internet institutionnels et d'Orphanet, par les centres de référence et de compétences, professionnels de santé experts dans la prise en charge des patients sclérodermiques.

#### Traitements

Les traitements doivent cibler tout particulièrement les atteintes viscérales de la ScS. Si les traitements à visée antifibrotique constituent une voie d'avenir, à l'échelon individuel, les choix thérapeutiques doivent être conditionnés par le bilan viscéral initial complet, une évaluation de l'évolutivité et du pronostic de la ScS sur la base d'un suivi régulier, ainsi qu'une évaluation des comorbidités.

### **3. Suivi**

La fréquence des consultations varie en fonction de la sévérité initiale, de l'évolutivité et de l'ancienneté de la maladie, du type d'atteinte viscérale et/ou de la survenue d'événements intercurrents. Un examen clinique est nécessaire à chaque modification de traitement (Figure 1).

De manière générale, l'examen clinique devra être répété :

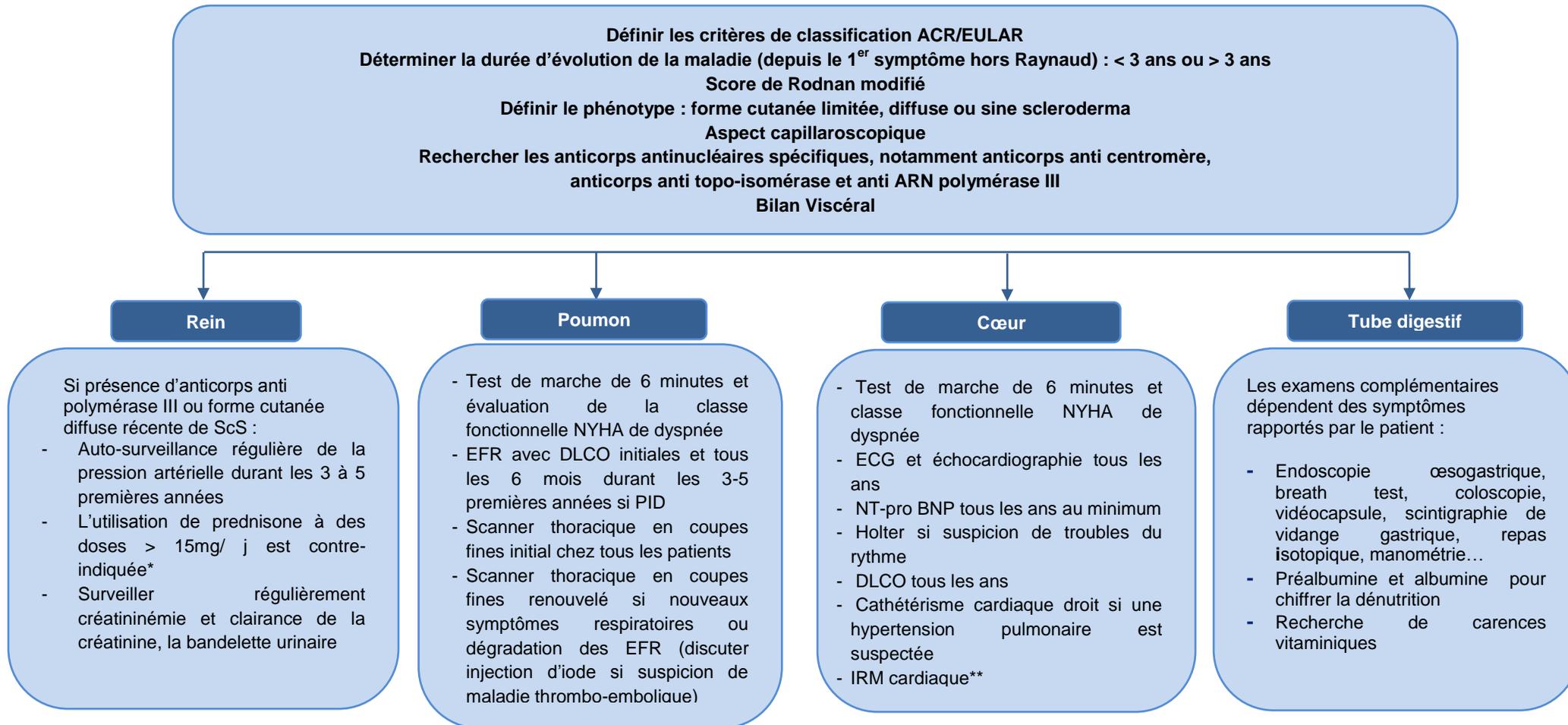
- Tous les trimestres pendant les 3 premières années d'évolution (depuis le premier symptôme hors phénomène de Raynaud) des formes cutanées diffuses puis ensuite de façon plus espacée ;
- Tous les semestres en cas de forme cutanée limitée et en l'absence d'atteinte viscérale ;
- De manière plus rapprochée en cas de modification ou d'aggravation des symptômes.

Un bilan des complications et atteintes viscérales est réalisé tous les ans, parfois plus fréquemment notamment dans les formes cutanées diffuses de diagnostic récent.

Il existe des circonstances particulières :

- Situations d'urgence (Annexe 7) ;
- Recommandations avant anesthésie (Annexe 6).

**Figure 1. Recommandations pour l'évaluation initiale et le suivi des patients atteints de sclérodémie systémique**



Les sclérodémies systémiques récentes avec une atteinte cutanée diffuse sont plus à risque de crise rénale et de fibrose pulmonaire sévère.

La durée d'évolution de la maladie reflète le risque d'atteinte viscérale. Les complications rénales surviennent plus volontiers dans les formes récentes ayant une évolution depuis moins de 3 à 5 ans et dans les formes cutanées diffuses. La fibrose pulmonaire est une complication plus fréquente des ScS cutanées diffuses évoluant depuis moins de 5 ans.

Les atteintes cardiaques, digestives et l'HTAP peuvent survenir plus tardivement mais sont aussi parfois des complications précoces.

\* Risque de crise rénale sclérodermique

\*\* en cas de doute sur une atteinte cardiaque

*ACR : American College of Rheumatology ; EULAR : European League Against Rheumatism ; ARN : acide ribonucléique ; NYHA : New York Heart Association ; EFR : épreuves fonctionnelles respiratoires ; DLCO : diffusion lente du monoxyde de carbone ; PID : pneumopathie infiltrante diffuse ; ECG : Électrocardiogramme ; NT-proBNP : portion N-Terminal du peptide natriurétique du groupe B ; IRM : Imagerie par résonance magnétique ; HTAP : hypertension artérielle pulmonaire.*