



Le portail des maladies rares et des médicaments orphelins

## Purpura thrombopénique immunologique

---

Numéro Orphanet:	ORPHA3002	CIM-10	:	D69.3
Synonyme(s)	PTAI PTI Purpura thrombopénique auto-immun	OMIM	:	<u>188030</u>
Prévalence	: 1-5 / 10 000	UMLS	:	C0398650
Hérédité	: Sporadique	MeSH	:	D016553
Âge d'apparition	: Variable	MedDRA	:	10021245
		SNOMED CT:		234490009

## Résumé

Le Purpura Thrombopénique Immunologique (PTI ; ou purpura thrombopénique auto-immun) est un trouble auto-immun de la coagulation caractérisé par une thrombopénie isolée (plaquettes < 100,000/microL) non explicable par la présence d'une autre pathologie. L'incidence annuelle chez l'adulte est estimée entre 1/62 500 et 1/25 600. Il existe une prédominance féminine modérée avec un sexe ratio de 1.3 :1. Le PTI peut survenir à tout âge mais, chez les hommes, présente deux pics d'incidence : chez les garçons de moins de 18 ans et chez les hommes âgés. Parmi les femmes, le taux d'incidence est constant. Le PTI est asymptomatique dans 1/3 des cas. Il se manifeste le plus souvent par un syndrome hémorragique cutanéomuqueux avec purpura qui ne survient habituellement que lorsque les plaquettes sont inférieures à 30x10<sup>9</sup>/L. Les saignements viscéraux graves (hématurie, hémorragie digestive ou cérébro-méningée) ne surviennent que lorsque la thrombopénie est inférieure à 10x10<sup>9</sup>/L. Selon la durée de la maladie, le PTI est classé en PTI nouvellement diagnostiqué, persistant (durée de 3 à 12 mois) et chronique (évolution supérieure à 12 mois). Le PTI est défini comme sévère lorsque la présence de phénomènes hémorragiques justifie une intervention thérapeutique après échec des traitements de première ligne. L'étiologie est inconnue mais une origine génétique est exclue, les formes familiales étant exceptionnelles. La destruction des plaquettes par des auto-anticorps, principalement dans la rate, est associée à une production plaquettaire souvent insuffisante. Le PTI est suspecté lorsque l'histoire familiale, l'examen clinique, la numération formule sanguine et l'examen du frottis sanguin périphérique ne suggèrent aucune autre étiologie pour la thrombopénie. Il n'y a pas d'examen paraclinique de référence permettant d'établir un diagnostic de certitude. Une réponse positive à une thérapie spécifique (immunoglobulines intraveineuses (IgIV) et/ou stéroïdes) appuie le diagnostic. La réalisation d'un myélogramme est indispensable après 60 ans, en cas d'anomalie des autres lignées ou lorsque la thrombopénie ne répond pas aux traitements de première ligne ; il montre une moelle normale et riche en mégacaryocytes. Il doit être couplé à des tests cytogénétiques lorsqu'un syndrome myélodysplasique est suspecté. Le diagnostic différentiel inclut les causes secondaires de PTI (induit par des médicaments), des maladies auto-immunes (telles que le lupus érythémateux ; voir ce terme), l'infection à VIH et l'hépatite C. La stratégie thérapeutique est adaptée à la gravité du syndrome hémorragique et à l'âge du patient. Le traitement est proposé aux patients dont le nombre de plaquettes est inférieur à 30x10<sup>9</sup>/L et/ou en présence de saignements. Les corticostéroïdes (prednisone) représentent le traitement de première ligne. L'utilisation d'IgIV est réservée aux patients réfractaires à la prednisone en cas de syndrome hémorragique important. Lorsque l'évolution est chronique, le traitement de référence est la splénectomie. Un traitement par anticorps monoclonaux anti CD20 (rituximab) peut être proposé. Les agonistes du récepteur de la thrombopoïétine (TPO) (romiplostim et eltrombopag) stimulent la production médullaire et sont remarquablement efficaces. Ils sont indiqués chez les patients ne répondant pas à la splénectomie ou chez lesquels la splénectomie est contre-indiquée. De par leur mécanisme d'action, les agonistes TPO n'ont qu'un effet suspensif et sont un traitement de maintien. Les agents cytotoxiques sont réservés aux très rares patients réfractaires aux traitements précédents. Le taux de mortalité est généralement inférieur à 2%, mais peut dépasser les 10% dans le cas des rares patients réfractaires à la splénectomie et aux traitements de première et seconde ligne.

### Editeur(s) expert(s)

- Pr Bertrand GODEAU

Dernière mise à jour : Août 2009



Toutes les informations et documents contenus dans ce site sont fournis uniquement à titre d'information. Ils ne visent en aucun cas à remplacer un avis médical spécialisé et ne doivent pas être utilisés comme base pour le diagnostic ou le traitement.

