

Synthèse à destination du médecin traitant

Extraite du Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS)

**Histiocytose langerhansienne (enfant de moins de 18
ans)**

Novembre 2021

**Centre de référence des Histiocytoses
Sous l'égide de la filière de santé maladies rares MARIH (Maladies Rares Immuno-
Hématologiques).**

Sommaire

Synthèse à destination du médecin traitant	3
1. Définition de la maladie	3
2. Cause(s).....	3
3. Prévalence	3
4. Symptômes.....	3
5. Mortalité	3
6. Programme thérapeutique – prise en charge	4
7. Traitement(s)	4
8. Informations utiles	4

Synthèse à destination du médecin traitant

Ce PNDS concerne l'histiocytose langerhansienne pour un patient âgé de moins de 18 ans.

1. Définition de la maladie

L'histiocytose langerhansienne est une maladie rare multisystémique liée à l'accumulation au sein de tissus de macrophages présentant les caractéristiques immunologiques de cellule de Langerhans (macrophage de la peau) en particulier le CD1a et le CD207.

2. Cause(s)

L'histiocytose est une maladie clonale acquise, sans cause identifiée mais survenant parfois après une stimulation antigénique comme une infection virale ou un vaccin ou, en cas d'atteinte pulmonaire, en lien avec un tabagisme actif. Cependant, dans la majorité des cas, aucun facteur déclencheur n'est retrouvé.

3. Prévalence

Avant l'âge de 15 ans, l'incidence annuelle est d'environ 6 cas par million d'enfants (soit environ 70 cas par an pour la France en 2021) et diminue au-delà (environ 2 cas / million pour les adolescents et adultes). Les cas prévalents sont environ de 600 cas en France, pour la population pédiatrique de 11 000 000 d'enfants.

4. Symptômes

Maladie multi systémique, le spectre des symptômes est très large : éruption cutanée, atteinte osseuse (presque tous les os peuvent être atteints) responsable de tuméfaction et/ou de douleurs et/ou de conséquences fonctionnelles de voisinage, mais aussi de fièvre, d'anémie, de syndrome hémorragique, de syndrome polyuro-polydipsique, d'ictère, d'adénopathie, de troubles neurologiques cognitifs et moteurs ou une détresse respiratoire

5. Mortalité

Depuis les années 2000, la mortalité de l'histiocytose langerhansienne chez l'enfant est très faible, inférieure à 1% pour les présentations les plus agressives. Des séquelles tardives peuvent néanmoins être responsables de décès : cholangite sclérosante responsable de défaillance hépatique, atteinte pulmonaire sévère, atteinte neuro dégénérative.

6. Programme thérapeutique – prise en charge

La prise en charge dépend de la présence ou non de symptômes liés à la maladie. Certaines présentations sont spontanément curables, d'autres nécessitent une chimiothérapie, voire une thérapie ciblée.

7. Traitement(s)

Les traitements locaux que cela soit pour une atteinte orthopédique ou, une atteinte cutanée, sont toujours indiqués. Un traitement par voie générale comporte en première ligne une association d'un traitement par de la vinblastine et un corticoïde.

Les indications de ce traitement sont la présence d'un organe à risque (OR) (atteinte hématologique définie par une ou plusieurs cytopénies/ atteinte hépatique ou splénique) ou toute autre atteinte entraînant une menace fonctionnelle (douleurs/ menaces de fracture/ compression d'un organe de voisinage...).

En cas d'échec au traitement de première ligne, il peut être proposé soit du 2 Cda (absence d'OR) ou une thérapie ciblée qui sera déterminée selon le statut moléculaire.

8. Informations utiles

La prise en charge d'une histiocytose langerhansienne repose d'abord sur des soins courants, dans le cadre d'une pratique hémato oncologique pédiatrique, ou de spécialités. La mise en œuvre de ces mesures peut être parfois difficile selon l'expérience de chaque praticien. Il est d'ailleurs probable, vu la rareté de la maladie et la dispersion des cas, que le médecin en charge découvrira la maladie lors de la prise en charge du patient.

Des compétences locales sont indispensables mais toutes les situations qui soulèvent un problème de décision thérapeutique ou d'interprétation de ces recommandations peuvent faire aussi appel à la ressource de la réunion de concertation pluri disciplinaire nationale.

Centre de référence des histiocytoses :

www.histiocytose.org

mail : trs-registre-histiocytose@aphp.fr

Association de patients : Histiocytose France www.histiocytose.org

Contact avec la RCP : rcp@marih.fr

Filière de santé maladies rares immuno-hématologiques MaRIH :

Email : contact@marih.fr

Site internet : www.marih.fr

Facebook : [@Filiere.MaRIH](https://www.facebook.com/Filiere.MaRIH)

Twitter : [@Filiere_MaRIH](https://twitter.com/Filiere_MaRIH)