

**PLAN**

I. Introduction générale.....	10
a. Physiopathologie des syndromes drépanocytaires majeurs.....	10
L'hémoglobine S.....	10
Le globule rouge.....	15
Le vaisseau et les cellules sanguines.....	17
Le monoxyde d'azote.....	19
La coagulation.....	21
Les pièges extracellulaires des neutrophiles.....	23
b. Complications des syndromes drépanocytaires majeurs.....	24
La crise vaso-occlusive.....	28
La douleur et sa prise en charge.....	29
Traitements adjuvants.....	32
Le syndrome thoracique aigu.....	32
Les infections.....	33
Les anémies.....	34
Les complications neurologiques.....	35
Les complications ostéo-articulaires.....	37
Les complications hépatobiliaires.....	37
Les complications ophtalmologiques.....	38
Les complications rénales.....	38
Les ulcères de jambe.....	38
Le priapisme.....	39

## PLAN

Les complications pulmonaires.....	39
Les complications cardiaques.....	40
Les complications hormonales et gynécologiques.....	40
c. La prise en charge des patients drépanocytaires.....	42
Les nouveaux traitements et les traitements en cours d'investigations.....	49
II. La construction de la base de données médicales des patients vivant en Belgique atteint de syndromes drépanocytaires majeurs.....	56
a. Introduction.....	56
Intérêt d'un système intégré de prise en charge des patients.....	56
La mission du Réseau des hémoglobinopathies en Belgique.....	57
b. Objectif de la base de données ou Registre Belge des patients drépanocytaires.....	59
c. Méthodologie.....	60
Dépistage néonatal en Belgique et prise en charge des patients drépanocytaires découverts.....	60
Inclusion des patients dans le Registre.....	60
Construction informatique de la base.....	61
Avis juridique.....	62
Recueil des données.....	62
Questionnaires.....	63
Retrospective study.....	63
Prospective study.....	68
III. Résultats du travail personnel.....	72
a. Introduction.....	72
b. Publication 1 : Sickle Cell Disease from Africa to Belgium, from Neonatal Screening to Clinical Management, Med Trop 2010 ; 70 : 467-470.....	73

## PLAN

Événements cliniques.....	74
Traitements appliqués.....	76
Conclusion.....	76
Article publié.....	77
c. Publication 2 : Neonatal Screening Improves Sickle Cell Disease Clinical Outcome in Belgium, J Med Screen. 2017; Jan 1 :969141317701166.....	81
Conclusion.....	83
Article publié.....	84
d. Publication 3 : Survival Among Children and Adults With Sickle Cell Disease in Belgium: Benefit From Hydroxyurea Treatment, Pediatr Blood Cancer. 2015; 62:1956-61 .....	91
Conclusion.....	95
Article publié.....	96
e. Analyses des données observées chez l'enfant et l'adulte – Résultats non publiés.....	102
Conclusion.....	109
IV. Discussion perspectives et conclusion.....	110
a. Discussion.....	110
b. Perspectives.....	117
c. Conclusion.....	120
Références.....	121