

Crise rénale sclérodermique : amélioration du pronostic par adjonction de bosentan au traitement de référence de la maladie (ScS REINBO)

Dr A.BEREZNE, Pôle de médecine interne, Centre de référence Maladies rares Groupe I

Maladies systémiques et maladies auto-immunes rares en particulier Vascularites nécrosantes et les sclérodermies

Hôpital Cochin

Introduction : La crise rénale sclérodermique est une des manifestations les plus sévères au cours de la sclérodermie systémique. Elle fut la première cause de mortalité liée à la sclérodermie (ScS) avant que l'usage systématique des inhibiteurs de l'enzyme de conversion (IEC) n'améliore le pronostic vital et fonctionnel. Toutefois, la sévérité d'une CRS reste très importante avec une mortalité de 20% à 1 an. La survie est évaluée à 65% à 5 ans. En outre, le pronostic fonctionnel n'est pas bon puisque seulement 36% à 44% des patients ne seront jamais dialysés et 19% à 40% des patients resteront ou nécessiteront une hémodialyse chronique au décours de cette crise rénale.

L'objectif de ce protocole thérapeutique exploratoire est d'évaluer si un antagoniste mixte des récepteurs à l'endothéline-1, le bosentan, est capable d'améliorer la fonction rénale et la survie des patients, en adjonction au traitement de référence comprenant un IEC.

Pour réaliser cet objectif, nous nous proposons d'évaluer prospectivement une série de malades vus en phase aiguë de la maladie et recevant cette association thérapeutique.

Objectif principal : Déterminer l'efficacité à un an du bosentan, prescrit durant 6 mois, chez des patients présentant une crise rénale sclérodermique venant d'être diagnostiquée.

Objectif secondaire : Evaluer la tolérance du bosentan, prescrit dans ces circonstances

Nombre de patients : L'effectif global prévu pour l'étude est de 15 patients.

Durée totale de l'étude : 3 ans : 2 ans d'inclusion et 1 an de suivi

Critère de jugement principal : évolution de la fonction rénale à 6 mois et à 1 an du début de la crise rénale.

Critères de jugement secondaires :

-Nombre et sévérité des effets secondaires (classification de l'OMS, annexe II)

-Survie globale des patients à 1 an

Ce PHRC 2009 a débuté en Mars 2011 avec à ce jour, 3 patients inclus.