Présentation par Jean-Louis CHAUSSAIN

Communications
Résultats du traitement précoce dans les hypopituitarismes de l'enfant par **Frédéric HUET** (Doyen du CHU de Dijon, doyen.medecine@u-bourgogne.fr)
L'hypopituitarisme est un modèle pathologique intéressant car il permet d'évaluer au long cours notre capacité à substituer les différents déficits hormonaux présentés par cette population. Aucune étude n'a vérifié l'**efficacité du traitement par hormone de croissance sur la taille finale** chez ce type de patients traités avant l'âge d'1 an.D'après le fichier France-Hypophyse, 59 enfants ont été traités par hormone de croissance avant l'âge d'un an entre 1977 et 1992. Le profil de croissance complet de 49 patients a pu être analysé en tenant compte des traitements proposés. 20 filles (âge au diagnostic : 6,1 ± 3,8 mois) et 29 garçons (4,5 ± 3,3 mois) ont été traités pendant en moyenne 16 ± 1,6 ans par hormone de croissance. Le rattrapage statural a été maximal durant les 3 premières années. À 10 ans, les patients ont rejoint voire dépassé leur taille cible. La puberté a été spontanée (14 enfants) ou déclenchée (33 enfants) à l'âge osseux de 11,7 ± 1,8 ans. On constate un pic de croissance pubertaire correct mais sans poursuite du rattrapage durant la puberté. La taille finale est de 159 ± 8 cm chez les filles et de 173 ± 7 cm chez les garçons. Aucun effet secondaire particulier n'a été rapporté dans cette cohorte.Grâce à la GH introduite précocement, la croissance des enfants présentant un hypopituitarisme est particulièrement satisfaisante avec un écart entre la taille finale et la taille cible parentale de 0,1 ± 1,1 DS. Il est donc essentiel de repérer et de traiter au plus tôt ces jeunes patients.

Existe-t-il une relation entre la dose d'hormone de croissance et d'éventuelles complications tumorales ? Par Yves LE BOUC (Membre correspondant de l'Académie nationale de médecine, Explorations fonctionnelles, Hôpital Trousseau – Paris, Yves.le-bouc@inserm.fr)

Toutes les études ont fait l'objet de controverses du fait de la faible taille des effectifs, de certaines faiblesses méthodologiques, du manque d'exhaustivité des recueils de données et enfin de la difficulté à comparer ces populations de patients à un groupe contrôle adapté. En définitive, si leurs informations sont dans leur ensemble plutôt rassurantes, ces études ont eu le mérite de pousser à s'interroger davantage aux effets secondaires potentiels de l'hormone de croissance hypophysaire (GH), de préconiser des limites dans les indications thérapeutiques, de pondérer davantage les indications en fonction des facteurs de risques familiaux et d'instaurer systématiquement une surveillance par IGF 1 plasmatique pour maintenir son niveau dans des zones physiologiques. Ces études soulignent aussi l'importance d'instaurer un suivi institutionnel et rigoureux à long terme dans le cadre de ce traitement.

Complications à long terme des traitements par hormone de croissance par Jean-Claude

CAREL (Endocrinologie, diabétologie pédiatrique, Inserm CIC-EC5, Centre de référence maladies endocriniennes rares de la croissance, Hôpital Robert Debré – Paris, jean-claude.carel@inserm.fr)

Les indications des traitements par l'hormone de croissance ont progressivement évolué, de la substitution des formes sévères de déficit en hormone de croissance vers la prise en charge pharmacologique d'un nombre croissant de petites tailles sans déficit de la sécrétion hypophysaire. La substitution hormonale du déficit en hormone de croissance recouvre elle-même des situations très hétérogènes, allant du déficit hypophysaire sévère à des petites tailles sélectionnées par les tests de stimulation pharmacologique de l'hormone de croissance. Dans le contexte d'un spectre d'indications croissantes, la sécurité à moyen et long terme de ces traitements est particulièrement importante. Le précédent de transmission de maladies à prion par l'hormone de croissance extractive a conduit les médecins et l'industrie pharmaceutique à renforcer la pharmacovigilance autour de l'hormone de croissance recombinante. On dispose donc de données particulièrement abondantes sur le profil de tolérance pendant le traitement, qui est globalement considéré comme favorable par une conférence de consensus. Cependant, ces données ne répondent pas à la question importante de la tolérance à long terme. Nous passerons en revue les principaux points à surveiller pendant le traitement et ferons le point sur les connaissances et les études en cours sur la tolérance à long terme, en particulier sur les données disponibles sur l'étude SAGhE, récemment diffusées par l'AFSSAPS. L'interprétation des événements secondaires observés pendant ou après un traitement par hormone de croissance est particulièrement difficile car on ne dispose pas de données d'incidence ou de prévalence des différents types d'événements dans une population contrôle équivalente aux patients traités. L'augmentation du nombre d'événement observés peut donc toujours résulter de la maladie de base, du traitement par l'hormone de croissance ou de l'interaction des deux.