

## Critères et définitions appliqués dans les travaux sur la cohorte de patients

### OBS'CEREVANCE\*

#### Critères d'inclusion

Purpura Thrombopénique Immunologique (PTI) : définie selon les critères du groupe de travail international (Rodeghiero et al., Blood 2009).

Anémie hémolytique auto-immune (AIHA) : Hb < 110 g/L avec un test de Coombs (DAT) positif et au moins un des critères d'hémolyse suivants : numération des réticulocytes > 120 G/L, bilirubine libre > 17 mmol/L, ou haptoglobine < 10 mg/dL.

Neutropénie auto-immune (NAI) : définie comme une neutropénie périphérique < 1 G/L persistant pendant plus de 6 mois, qui n'est due ni à une infection ni à un médicament, indépendamment de la présence ou de l'absence d'auto-anticorps dirigés contre les neutrophiles.

Syndrome d'Evans (SE) : association simultanée (moins d'un mois) ou séquentielle d'au moins deux cytopénies auto-immunes parmi le PTI, l'AIHA et la NAI.

Les patients sont inclus dans la cohorte s'ils ont moins de 18 ans au moment du premier diagnostic de cytopénie auto-immune (CAI), quel que soit l'âge à l'inclusion.

#### Critères d'exclusion

Maladie héréditaire des globules rouges ou des plaquettes.

#### Manifestations cliniques immunopathologiques\*\*

Lymphoprolifération : splénomégalie importante sans hémolyse ou lymphadénopathie persistante importante (> 1 cm), nécessitant éventuellement une biopsie.

Maladie auto-immune/autoinflammatoire d'organes : pulmonaire (pneumopathie interstitielle granulomateuse-lymphocytaire), hépatique et digestive (entéropathie lymphoïde, maladie cœliaque, maladie inflammatoire de l'intestin, gastrite chronique, hépatite auto-immune ou à cellules géantes et cirrhose), rénale (hématurie, protéinurie, glomérulonéphrite), neurologique (manifestations auto-immunes, auto-inflammatoires, granulomateuses et vasculaires), endocrinienne (hépatite auto-immune ou à cellules géantes), glomérulonéphrite, neurologiques (manifestations auto-immunes, auto-inflammatoires, granulomateuses et vasculaires), endocriniennes (thyroïdite auto-immune et maladie de Grave), dermatologiques (psoriasis, vitiligo, alopecie et vascularite) ou autres manifestations auto-immunes ou auto-inflammatoires. (ophtalmologiques, cardiaques...)

#### Manifestations biologiques immunopathologiques\*\*

Hypogammaglobulinémie : taux d'immunoglobulines (Ig) G inférieurs à la moyenne pour l'âge du patient (d'au moins 2 DS) sur deux échantillons distincts, avec ou sans taux d'IgA inférieurs à la moyenne pour l'âge du patient (d'au moins 2 DS), ou en cas d'échec de l'immunisation vaccinale ou d'anomalies de la numération des cellules B.

Marqueurs biologiques du lupus érythémateux systémique : titre des anticorps antinucléaires  $\geq 1/160$  ; anticorps anti-ADN double brin ou anticorps anti-Smith, hypocomplémentémie, lupus anticoagulant ou anticardiopline.

Biomarqueurs du syndrome lymphoprolifératif auto-immun : taux élevé de vitamine B12, hypergammaglobulinémie persistante ( $\geq 2$  DS de plus que la moyenne pour l'âge), augmentation du ligand FAS circulant ou nombre élevé de lymphocytes TCR $\alpha\beta$  CD4-CD8- doublement négatifs circulants.

Autres autoanticorps isolés.

#### Traitements de seconde ligne

Tous les traitements immunomodulateurs ou immunosuppresseurs, les agonistes du récepteur de la thrombopoïétine ou la splénectomie, à l'exception des corticostéroïdes et des immunoglobulines intraveineuses (c'est-à-dire les traitements de première intention).

#### Statut du PTI et de l'AHAI

Les statuts du PTI et de l'AHAI sont classés comme suit : pas de rémission (NR) - numération plaquettaire < 30 G/L ou Hb < 70 g/L ; rémission partielle (RP) = numération plaquettaire 30-100 G/L ou Hb 70-110 g/L, avec réticulocytes > 120 G/L ; rémission complète (RC) = numération plaquettaire > 100 G/L ou Hb  $\geq 11$  g/L, avec réticulocytes  $\leq 120$  G/L ; rémission complète continue (RCC) = RC sans aucun traitement (de première ou de deuxième intention) ni phase aiguë au cours des 12 derniers mois.

\* Ces critères et définitions sont appliqués à l'ensemble de nos travaux sauf indication particulière dans la section matériel et méthode de nos publications.

\*\*Un bilan clinique et biologique est réalisé au moins une fois par an, à la discrétion du clinicien, selon les recommandations françaises.