



# Groupe Francophone d'Hépatologie - Gastroentérologie et Nutrition Pédiatrique

## Effacité et tolérance des traitements hypolipémiants chez des enfants avec Hypercholestérolémie Familiale

Laborde Nolwenn, Barde Céline, Fournié-Gardini Emmanuelle, Breton Anne, Olives Jean-Pierre, Mas Emmanuel : Unité de Gastroentérologie, Hépatologie, Nutrition, Diabétologie et Maladies Héritaires du Métabolisme-Toulouse

**Contexte :** L'identification précoce des patients porteurs d'hypercholestérolémie familiale (HF) permet d'initier dès l'enfance un traitement hypolipémiant visant à réduire le risque cardio-vasculaire accru chez ces patients et constitue ainsi un enjeu important de santé publique.

**Objectif :** Evaluer l'efficacité et la tolérance d'un traitement hypolipémiant chez des enfants porteur d'HF dans la pratique quotidienne. Un objectif secondaire était d'évaluer l'athérosclérose silencieuse chez ces enfants par la réalisation d'échographie vasculaire.

**Méthodes:** Nous avons analysé rétrospectivement dans une étude monocentrique les dossiers médicaux de patients de moins de 18 ans consultant pour une dyslipidémie entre janvier 2006 et septembre 2016. L'HF était définie selon les critères prédictifs de Girardet et al.1. Il s'agissait d'antécédents familiaux de traitement hypolipémiant chez un des parents, ou accident vasculaire prématuré (femme < 65 ans, homme < 55 ans) chez un grand-parent et d'un profil biologique avec cholestérol total > 3 g/L et/ou cholestérol LDL (LDLc) > 2,2 g/L avant ou > 1,9 g/L après traitement diététique.

**Résultats :** Sur 110 patients suivis pour une dyslipidémie, 49 avaient une HF. La concentration moyenne en cholestérol total au diagnostic était de  $3,23 \pm 0,42$  g/L et  $2,48 \pm 0,44$  g/L en LDLc. L'âge médian au diagnostic était de 8,1 ans (2,8-14,7). 38 patients étaient traités (77,5%) dont 36 (94,7%) par statines (50% atorvastatine, 29% pravastatine, 2,5% rosuvastatine) et 2 (5,3%) par ézétimibe seul. 11 patients étaient traités hors AMM avant l'âge de 8 ans. Le pourcentage moyen de réduction de LDLc était de 35% après 6 mois de traitement ( $2,51 \pm 0,45$  vs  $1,49 \pm 0,34$ ,  $p < 0,01$ ). L'ézétimibe était secondairement associé aux statines chez 11 patients (22%) avec une réduction supplémentaire de LDLc de 36,7% ( $1,8 \pm 0,2$  vs  $1,14 \pm 0,32$ ,  $p = 0,002$ ). 25 patients avaient eu une échographie vasculaire qui retrouvait une athérosclérose débutante (fonction endothéliale diminuée ou épaisseur intima/média augmentée) chez 8 patients (32%). Ces anomalies vasculaires étaient significativement associées à un surpoids, une hypertriglycéridémie ou une diminution de HDLc. Sur un suivi médian de 3 ans sous traitement, la tolérance était bonne. La croissance staturo-pondérale était conservée. Une élévation transitoire et modérée des transaminases était observée chez 5 patients. 2 patients avaient une élévation transitoire des CPK > 5N mais sans symptômes musculaires.

**Conclusion:** Dans ces conditions de pratique clinique, l'efficacité et la tolérance des traitements hypolipémiants chez des enfants porteurs d'HF étaient bonnes, comparables aux études cliniques, avec un suivi de 3 ans. 1/3 des cas avait une athérosclérose silencieuse.