

INTRODUCTION

L'amélioration des connaissances de l'évolution naturelle de la mucoviscidose a conduit au développement de nouvelles approches thérapeutiques, qui ont amélioré la santé pulmonaire et prolongé l'espérance de vie des personnes atteintes par cette maladie. Cela a entraîné une augmentation des coûts liés à la prise en charge de la mucoviscidose. Les dernières études estimant le coût direct de la mucoviscidose en France datent de 2004. Une étude médico-économique actualisée était donc nécessaire. Le chaînage des données du SNDS aux données cliniques du Registre français de la mucoviscidose a permis de réaliser une étude exhaustive et fiable du fardeau de la maladie.

OBJECTIF

Cette étude visait à évaluer l'impact des changements démographiques et de prise en charge de la mucoviscidose sur la consommation de soins et les coûts associés de ces patients.

METHODES

Deux designs ont été utilisés : une étude transversale répétée afin d'étudier la consommation de soins et les coûts par année calendaire entre 2006 et 2017, et une étude de cohorte historique pour l'analyse de la consommation de soins et des coûts sur la période de suivi.

Les patients inclus entre 2006 et 2016 dans le registre français de la mucoviscidose ont été chaînés aux données des patients SNDS sur la période 2006-2017. Les patients ont été suivis depuis leur date index (date de diagnostic dans le registre) jusqu'à la fin du suivi (définie par la survenue du premier des événements suivants : décès, perte de vue, ou fin de la période d'étude (31/12/2017)).

Les coûts des traitements, consultations et procédures médicales, hospitalisations, et les coûts indirects ont été annualisés par année calendaire de 2006 à 2017. Les coûts ont été calculés à partir de la perspective de l'Assurance Maladie, c'est-à-dire les coûts réels remboursés par l'Assurance Maladie.

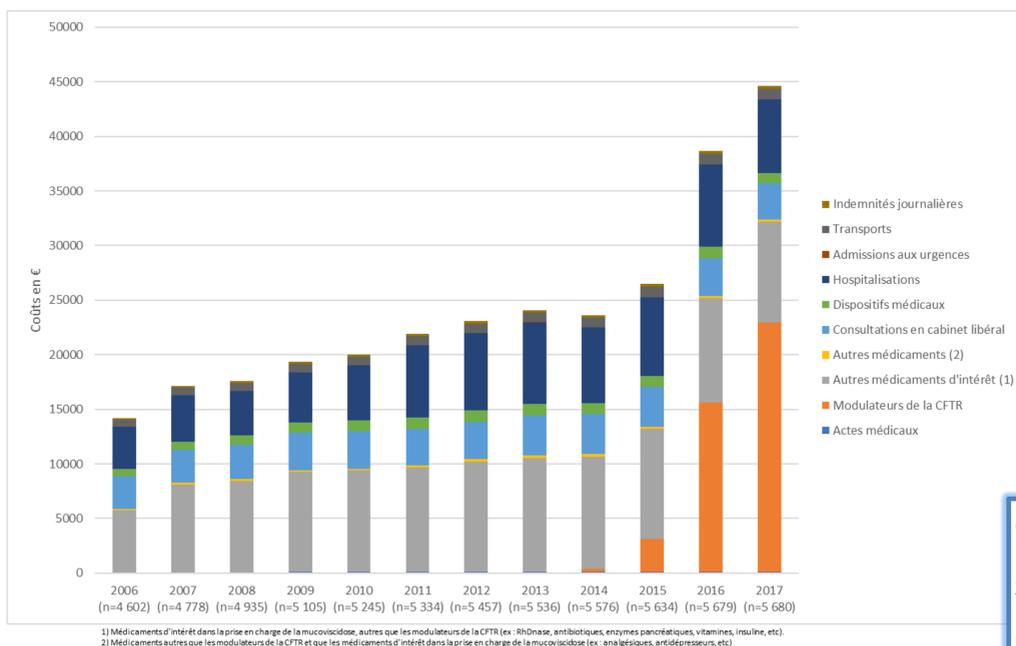
RESULTATS

Sur les 7671 patients inclus dans le registre entre 2006 et 2016, 6 187 patients (80,7%) ont été chaînés (51,9% d'hommes, âge moyen : 24,7). La durée médiane de suivi était de 12 ans (écart interquartile (IQR) : 9,9 - 12). 91,9% des patients furent suivis jusqu'à la fin de l'étude, 7,4% jusqu'au décès, et 0,7% furent perdus de vue.

	Tous les patients (n= 6 187)	Patients < 18 ans (n= 2 115)	Patients ≥ 18 ans (n= 4 072)
Mutations génétiques			
F508del/F508del	2 664 (43,1%)	929 (43,9%)	1 735 (42,6%)
F508del/autre	2 373 (38,4%)	801 (37,9%)	1 572 (38,6%)
F508del/Gating	166 (2,7%)	72 (3,4%)	94 (2,3%)
Gating/autre	79 (1,3%)	25 (1,2%)	54 (1,3%)
autre	801 (12,9%)	279 (13,2%)	522 (12,8%)
Non disponible	104 (1,7%)	9 (0,4%)	95 (2,3%)
Antécédent d'infection par pseudomonas			
oui	4 775 (77,2%)	1 477 (69,8%)	3 298 (81,0%)
Non disponible	648 (10,5%)	177 (8,4%)	471 (11,6%)
VEMS (% prédit) dans la dernière année de suivi*			
Moyenne (ET)	78,0 (27,7)	95,2 (21,6)	69,7 (26,4)
Médiane (Q1-Q3)	82,0 (58,0 - 99,0)	98,0 (84,0 - 109,0)	71,7 (49,0 - 90,0)
IMC dans la dernière année de suivi*			
Moyenne (ET)	19,6 (3,6)	17,2 (2,7)	20,9 (3,3)
Médiane (Q1-Q3)	19,3 (17,0 - 21,6)	16,7 (15,3 - 18,6)	20,6 (18,7 - 22,6)
Décès	460 (7,4%)	-	-
Grefte de poumon	866 (14,0%)	-	-

Dans une cohorte de 4 602 patients (âge moyen 17,5 ans), le coût total moyen par patient était de 14 174 € en 2006. En 2011, il était passé à 21 920 € par patient (5 334 patients, âge moyen 20 ans), et en 2017, à 44 585 € par patient (5 680 patients, âge moyen 24,2 ans). Le coût des séjours hospitaliers est passé de 3 843 € par patient en 2006 à 6 741 € en 2017. Le coût des consultations était stable, passant de 2 974 € par patient en 2006 à 3 660 en 2013, avant de diminuer à 3 284 € en 2017. Le coût des modulateurs CFTR est passé de 286 € en 2014 à 22 829 € en 2017, tandis que les coûts des autres médicaments sont passés de 5 707 € par patient en 2006 à 9 195 € en 2017 (figure 1).

Figure 1. Coût moyen en € par patient, par grand poste de dépense et année calendaire



RESULTATS (SUITE)

La consommation de soins est présentée dans le tableau 2 : presque la moitié des patients ont reçu de l'azithromycine, plus d'un tiers ont reçu des antibiotiques inhalés, et 45,4% de la RhDNase. Les modulateurs de la CFTR ont été délivrés à 18,3% des patients, et 14,2% ont reçu des immunosuppresseurs.

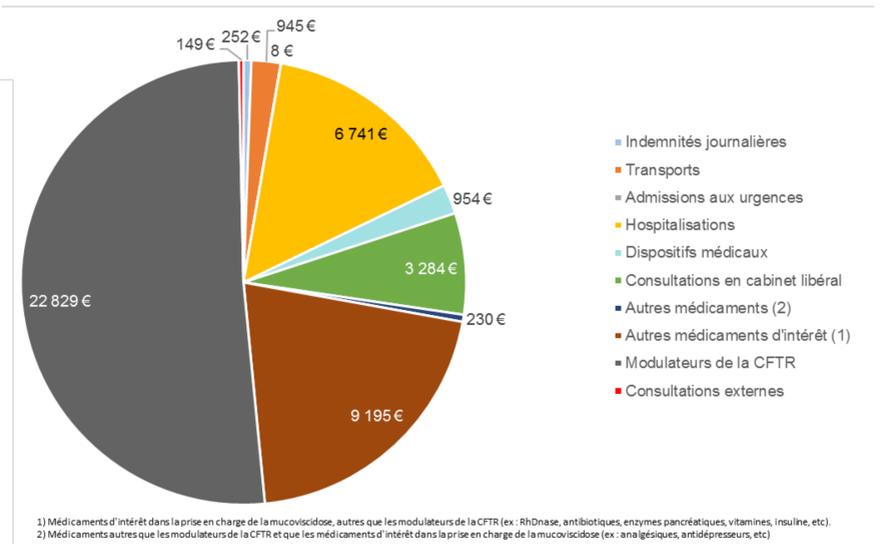
Tableau 2. Consommation de soins liée à la mucoviscidose en 2017 (n= 5 680)

	Nombre de consommateurs (%)	Nombre d'unités délivrées chez les consommateurs* Moyenne (ET)	Médiane (Q1-Q3)
Modulateurs de la CFTR			
Ivacaftor	122 (2,1%)	10,7 (3,8)	12,0 (10,0 - 13,0)
Ivacaftor/lumacaftor	920 (16,2%)	8,7 (4,4)	10,0 (5,0 - 12,0)
Autres traitements spécifiques de la muco			
RhDNase	2 578 (45,4%)	6,2 (4,1)	6,0 (2,0 - 10,0)
Antibiotiques inhalés	2 049 (36,1%)	18,7 (87,0)	5,0 (2,0 - 12,0)
Antibiotiques oraux ou intraveineux	4 982 (87,7%)	76,9 (151,0)	19,0 (8,0 - 67,0)
Azithromycine	2 634 (46,4%)	28,6 (19,5)	25,0 (12,0 - 45,0)
Extraits pancréatiques	4 541 (79,9%)	45,5 (28,7)	41,0 (25,0 - 61,0)
Vitamines liposolubles	4 980 (87,7%)	18,9 (15,7)	15,0 (7,0 - 26,0)
Acide ursodéoxycholique	1 610 (28,3%)	23,2 (18,8)	18,0 (10,0 - 33,0)
Antidiabétiques			
antidiabétiques oraux	159 (2,8%)	8,4 (7,0)	7,0 (3,0 - 12,0)
insuline	1 027 (18,1%)	8,4 (7,6)	6,0 (3,0 - 11,0)
Anti-ostéoporotiques	273 (4,8%)	4,8 (3,6)	4,0 (2,0 - 7,0)
Autres traitements			
Corticostéroïdes			
oraux	2 396 (42,2%)	7,8 (10,4)	3,0 (1,0 - 12,0)
inhalés	555 (9,8%)	5,1 (6,6)	2,0 (1,0 - 6,0)
Antifongiques			
par voie orale	712 (12,5%)	2,4 (4,3)	1,0 (1,0 - 2,0)
par voie systémique	925 (16,3%)	16,5 (18,0)	10,0 (4,0 - 23,0)
Inhibiteurs de la pompe à protons	2 841 (50,0%)	10,4 (7,6)	10,0 (4,0 - 13,0)
Psychotropes			
Antidépresseurs	412 (7,3%)	12,0 (11,6)	9,0 (3,0 - 17,0)
Anxiolytiques	607 (10,7%)	6,1 (9,5)	2,0 (1,0 - 7,0)
Supplémentation orale	1 017 (17,9%)	6,7 (7,2)	5,0 (2,0 - 9,0)
Immunosuppresseurs	809 (14,2%)	55,3 (22,2)	55,0 (41,0 - 69,0)
Hospitalisations en ambulatoire			
Hospitalisations conventionnelles	1 968 (34,6%)	2,4 (2,3)	2,0 (1,0 - 3,0)
Consultations externes (toutes spécialités confondues)			
	4 000 (70,4%)	3,7 (3,1)	3,0 (1,0 - 5,0)
Dispositifs médicaux			
Oxygénothérapie	243 (4,3%)	33,6 (18,7)	37,0 (15,0 - 51,0)
Ventilation assistée	145 (2,6%)	36,9 (18,0)	44,0 (23,0 - 52,0)
Générateur d'aérosol	4 116 (72,5%)	19,1 (13,8)	16,0 (11,0 - 25,0)
Nutrition entérale	317 (5,6%)	377,4 (308,4)	338,0 (111,0 - 566,0)
Nutrition parentérale	111 (2,0%)	18,8 (31,6)	6,0 (1,0 - 23,0)
Transports	2 895 (51,0%)	12,1 (22,5)	6,0 (3,0 - 13,0)
Indemnités journalières (nombre de jours)	674 (11,9%)	67,0 (93,5)	25,0 (10,0 - 81,0)

* Nombre moyen d'unités délivrées (i.e. prescrites, délivrées et remboursées) pour l'année 2017 chez les patients ayant reçu au moins un remboursement sur l'année.

Par conséquent, en 2017 le coût moyen des soins liés à la mucoviscidose par patient était réparti comme suit : 72% pour les traitements (dont 51% pour les modulateurs), 15% pour les séjours hospitaliers, 7% pour les consultations, 3% pour les coûts indirects, 2% pour les dispositifs médicaux, et 1% pour les interventions en ambulatoire.

Figure 2. Distribution des coûts en 2017



CONCLUSIONS

Le coût annuel moyen des soins liés à la mucoviscidose a fortement augmenté entre 2006 et 2017, notamment le coût lié aux traitements, après l'introduction des modulateurs de la CFTR. L'augmentation du coût des soins des patients atteints de mucoviscidose (avec l'arrivée de nouvelles thérapies) est associée à l'amélioration de leur prise en charge et l'augmentation de leur durée de vie.