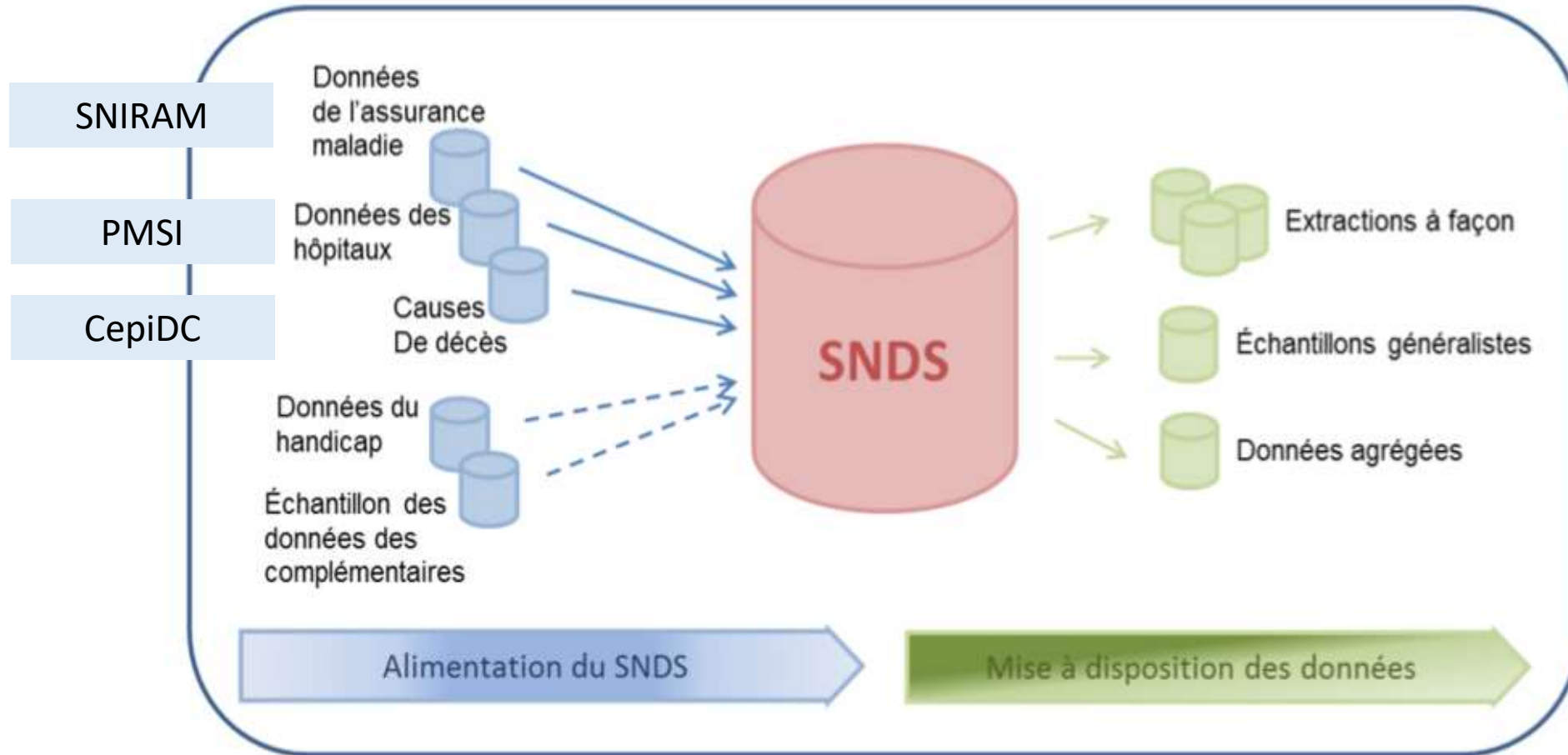


Intérêt des bases de données dans l'évaluation médico-économique des modulateurs

Isabelle Durieu
Lyon

Présentation du SNDS



www.snds.gouv.fr

Entrepôt de données médico-administratives pseudonymisées couvrant l'ensemble de la population française et contenant l'ensemble des soins présentés au remboursement.

Créé en 2016 dans la continuité d'un entrepôt précédent, géré par la Caisse Nationale de l'Assurance Maladie ([CNAM](http://www.cnam.fr)).

Présentation du SNDS

- Intérêt en terme de recherche:
 - Une des bases de données de santé les plus importantes du monde.
 - quasi-exhaustivité à l'échelle de la population française, et
 - décloisonnement ville - hôpital permettant de travailler sur le parcours de soin complet des patients.
- Objectifs:
 - mise à disposition des données afin de favoriser les études, recherches ou évaluations présentant un caractère d'intérêt public, et s'inscrivant dans l'une des
- Finalités autorisées :
 - l'information sur la santé et l'offre de soins
 - l'évaluation des politiques de santé
 - l'évaluation des dépenses de santé
 - l'information des professionnels de santé sur leur activité
 - la veille et la sécurité sanitaires
 - la recherche, les études, l'évaluation et l'innovation en santé
- Finalités interdites:
 - la promotion des produits de santé auprès des professionnels de santé et des établissements de santé
 - la modification des contrats d'assurance

Intérêt du SNDS pour travailler sur une pathologie

- Etude médico-économique
- Évaluation des parcours de soins
- Evaluation de la concordance des soins aux recommandations
- Facteurs associés aux défaut d'application des recommandations
- Identifications de comorbidités associées

Présentation du SNDS

Ce que l'on y trouve

- Les dépenses et remboursements (prestations en soins de ville, en établissements de santé, et montants associés)
 - Consommations de soins de ville (consultations, actes techniques...)
 - Prescriptions (médicaments)
 - Dispositifs médicaux (aides techniques)
 - Autres prestations (cures, transports...)
 - Soins hospitaliers (hors séances)
 - Séjours hospitaliers (et diagnostics)
 - Indemnités journalières (maladie, ATMP, maternité) et invalidité)
- Les Affections de Longue Durée ([ALD](#))
- Des informations génériques sur les patients :
 - Âge, sexe, commune et département de résidence
 - [CMU-C](#) (Couverture Maladie Universelle Complémentaire) et [ACS](#) (Aide à la Complémentaire Santé)
 - Date, commune et causes médicales de décès
 - Médecin traitant
- Des informations sur les professionnels de santé (spécialité, mode d'exercice, sexe, âge, département d'implantation)

Ce que l'on y trouve pas

- Pas de résultat de données d'examen clinique, ou paraclinique
- Pas de motifs de consultation
- Pas de notion des facteurs de risque type : tabac, alcool, nutrition, ...
- Pas d'information sur les médicaments délivrés au cours des séjours hospitaliers
- Pas (ou très peu) de données sociales

Présentation du SNDS

avantages

- Possibilité d'accès aux données sur une durée **prolongée** 2006-... +++
- Information précise et exhaustive sur les soins remboursés
- Disponibles sur un **grand nombre de patients**. Pas de nécessité d'inclure des patients, ni de recueillir des données
- Données **pré-existantes à l'étude**, immédiatement utilisables en termes qualitatif et de coûts
- Pas de biais de mémorisation dus aux patients

limites

- Peu de données socio-démographiques
- Absence de résultats cliniques et biologiques
- Absence d'information sur les médicaments délivrés à l'hôpital, non remboursés, pris en automédication
- Absence d'information sur les indications, les posologies et les durées pour lesquelles les médicaments sont délivrés
- La prise effective des traitements délivrés par le patient n'est pas connue
- Absence des médicaments délivrés dans le cadre des essais cliniques
- Information limitée sur les consommations de soins des personnes en EHPAD
- Disponibilité des données :
- PMSI : données de l'année N en septembre de l'année N+1

Chaînage des données du Registre et du SNDS

- Registre français de la mucoviscidose
 - Créé en 1992
 - Inclut les patients atteints de la mucoviscidose en France (7 671 patients)
 - Inclut les données génétiques, diagnostiques, cliniques
- Dans le SNDS:
 - 13700 patients avec un diagnostic d'hospitalisation pour mucoviscidose et/ou une ALD pour mucoviscidose
 - Données sur la consommation de soins et les coûts associés

Chaînage des données du Registre et du SNDS

Chainage probabiliste :

- données chaînées de deux bases sans identifiant commun
- données chaînées en associant des variables disponibles dans les 2 bases et ayant un pouvoir discriminant élevé

Pour chaque patient du registre, nous avons identifié une liste de patients dans le SNDS patients :

- du même sexe
- ET AVEC les même mois et année de naissance

Pour chaque couple de patients Registre/SNDS, nous avons identifié des informations communes:

- date de MM/AAAA
- mois et année de dspirométrie exacte JJ/MM/AAAA
- date de spirométrie +/- 3 jours
- dates de de spirométries
- Date décès
- date de transplantation (sans prendre en compte le type de transplantation)
- région d'habitation par année

Patient du Registre	Patient SNDS	Mêmes dates de spirométrie (nombre de dates communes)	Date de spirométrie ± 3 jours (nombre de dates communes)	Mois/année de la spirométrie (nombre de dates communes)	Décès	Grefe Mois / année	Région de résidence chaque année (nombre de régions communes)
1	A				oui		
1	B		4	9	oui		10
1	C		4	9	oui		11
2	D						
2	E	1	2	6	oui		
2	F						
2	G	10	10	11	oui	oui	11

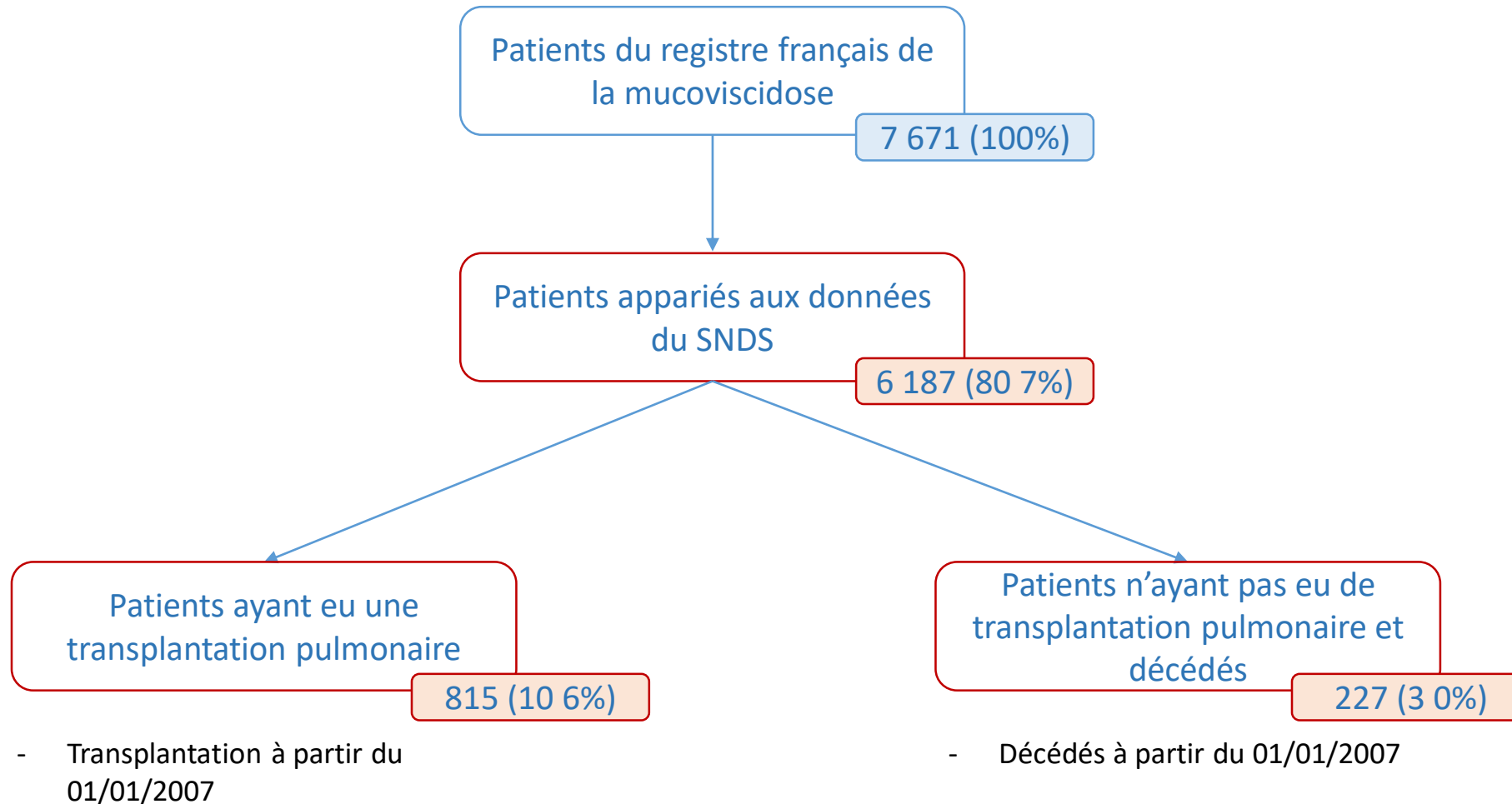
Chaînage des données du Registre et du SNDS

- Autres variables utilisées pour le chaînage :
 - Dates du test de sueur (a permis d'identifier de plus jeunes patients, la spirométrie n'étant pas réalisée avant 6 ans)
 - Des comorbidités ont aussi été utilisées (pneumothorax, insuffisance pancréatique, diabète, cancer...)

Au total

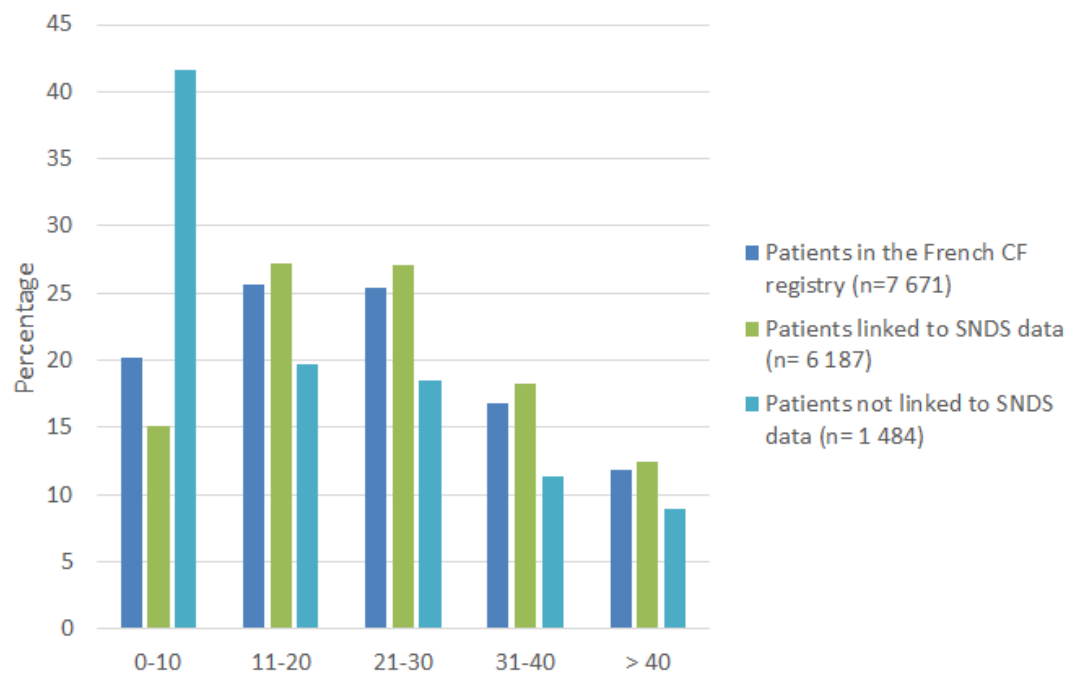
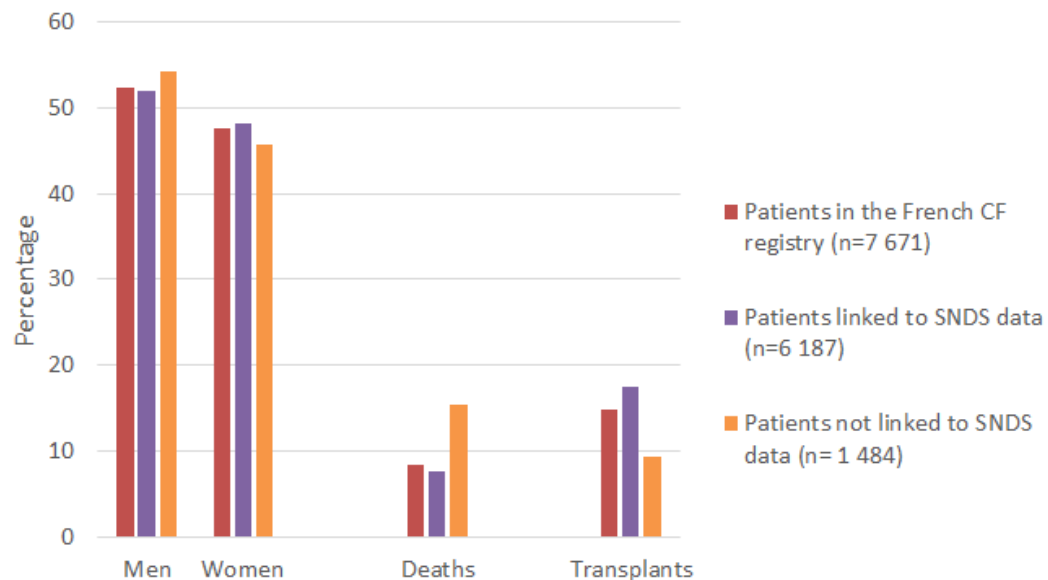
⇒ 6 187 patients chaînés (80.7%) avec les données 2016-2017

Chaînage des données du Registre et du SNDS



Comparaison des patients chainés/non chainés

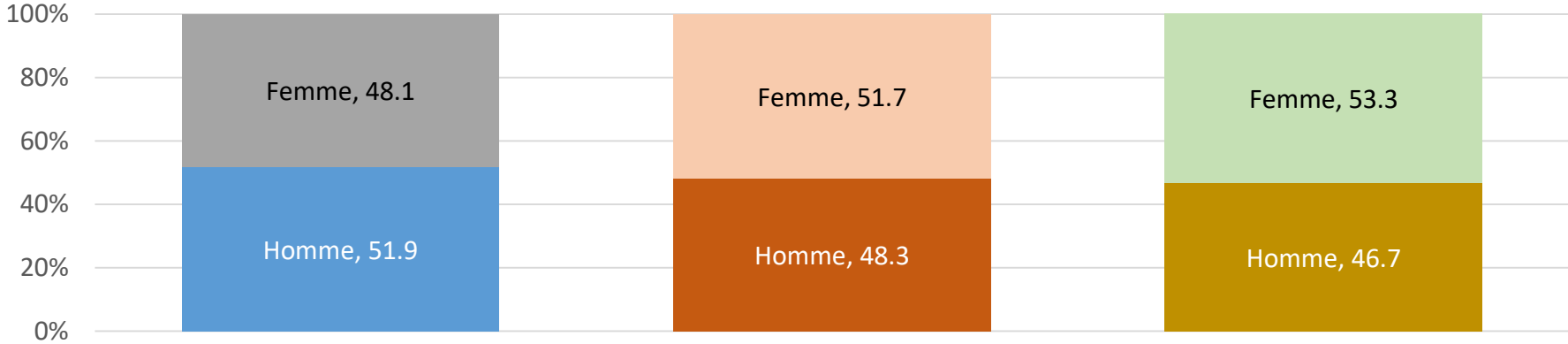
- sous-représentation des enfants de moins de 6 ans, mais excepté pour ce groupe d'âge, la population chainée est bien représentative de la population du registre.
- légère surreprésentation des patients greffés



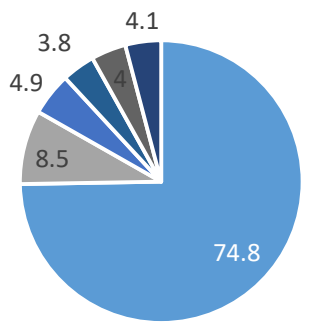
Tous Patients

Patients greffés

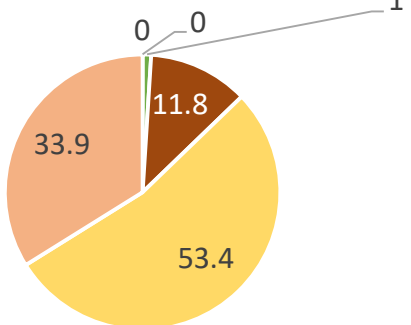
Patients non greffés et décédés



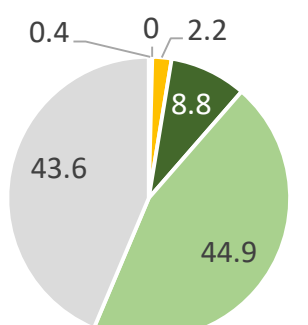
Age au diagnostic



Age à la transplantation



Age au décès



- 0-2 ans
- 3-6 ans
- 7-11 ans
- 0-2 ans
- 3-6 ans
- 7-11 ans
- 0-2 ans
- 3-6 ans
- 7-11 ans
- 12-18 ans
- 19-30 ans
- >30 ans
- 12-18 ans
- 19-30 ans
- >30 ans
- 12-18 ans
- 19-30 ans
- >30 ans

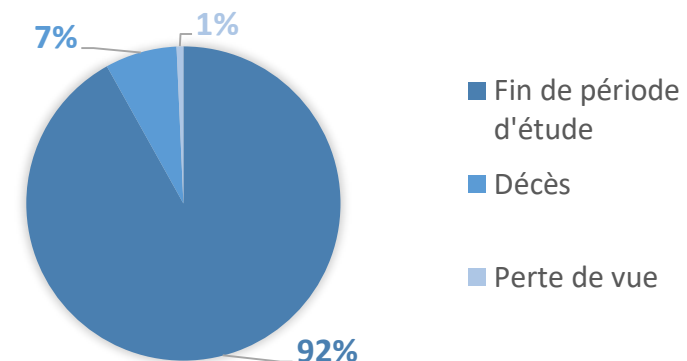
période de suivi : 2006-2017

- Date de fin de suivi :
 - Fin de période d'étude fixée au 31/12/2017
 - Décès du patient
 - Perte de vue du patient (date de dernière information enregistrée dans la base de données SNDS précédant une période sans remboursement de plus de 24 mois)

Description de la durée de suivi (N = 6 187):

	Moyenne	Ecart-type	Minimum	Q1	Médiane	Q3	Maximum
En mois	125, 6	33, 9	1	118, 4	144, 1	144, 1	144, 1

Description de la raison de fin de suivi (N = 6 187):



Caractéristiques des patients

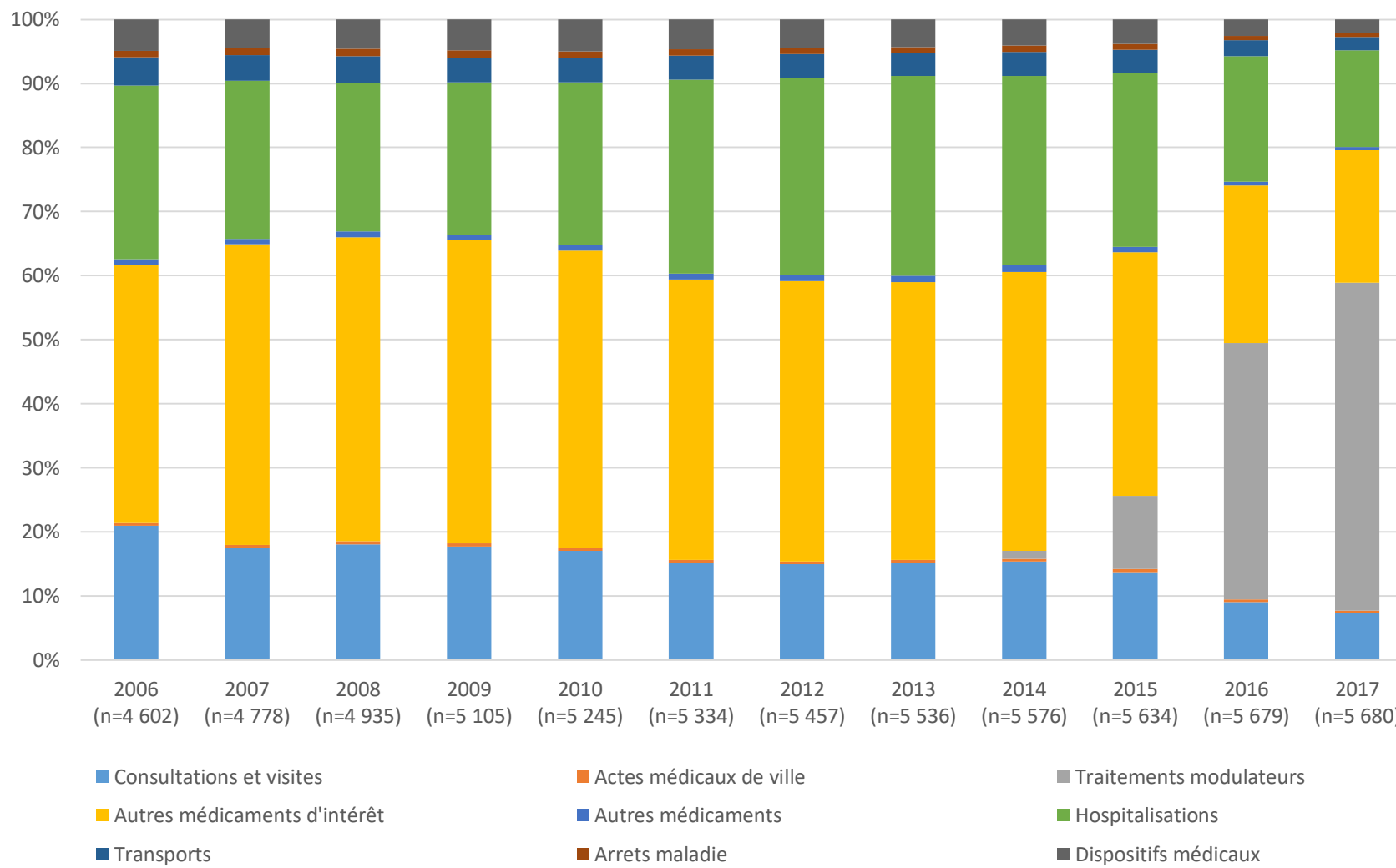
	All CF patients	CF patients < 18 years old	CF patients ≥ 18 years old
	N = 6 187	N = 2 115	N = 4 072
Genetic mutations			
F508del/F508del	2 664 (43.1%)	929 (43.9%)	1 735 (42.6%)
F508del/others	2 373 (38.4%)	801 (37.9%)	1 572 (38.6%)
F508del/Gating	166 (2.7%)	72 (3.4%)	94 (2.3%)
Gating/other	79 (1.3%)	25 (1.2%)	54 (1.3%)
others	801 (12.9%)	279 (13.2%)	522 (12.8%)
NA	104 (1.7%)	9 (0.4%)	95 (2.3%)
History of pseudomonas infection			
Yes	4 775 (77.2%)	1 477 (69.8%)	3 298 (81.0%)
NA	648 (10.5%)	177 (8.4%)	471 (11.6%)
FEV-1 (% predicted) in the last year of follow-up*			
Mean (SD)	78.0 (27.7)	95.2 (21.6)	69.7 (26.4)
Median (Q1-Q3)	82.0 (58.0 - 99.0)	98.0 (84.0 - 109.0)	71.7 (49.0 - 90.0)
Min - Max	8.3 - 200.0	8.3 - 152.0	9.0 - 200.0
FEV-1 (% predicted) in the last year of follow-up (in classes)*			
NA	576 (9.3%)	289 (13.7%)	287 (7.0%)
<40	656 (10.6%)	42 (2.0%)	614 (15.1%)
40-90	2 837 (45.9%)	598 (28.3%)	2 239 (55.0%)
>90	2 118 (34.2%)	1 186 (56.1%)	932 (22.9%)
BMI in the last year of follow-up*			
Mean (std)	19.6 (3.6)	17.2 (2.7)	20.9 (3.3)
Median (Q1-Q3)	19.3 (17.0 - 21.6)	16.7 (15.3 - 18.6)	20.6 (18.7 - 22.6)
Min - Max	9.0 - 42.2	9.0 - 34.3	12.0 - 42.2
Death	460 (7.4%)		-
Lung transplantation	866 (14.0%)		-

Consommation de soins en 2017 (n= 5 680)

	Number of consumers (%)
CFTR modulator therapies	1 042 (18.3%)
Ivacaftor	122 (2.1%)
Ivacaftor/lumacaftor	920 (16.2%)
Other CF treatments	
RhDNase	2 578 (45.4%)
Inhaled antibiotics	2 049 (36.1%)
Oral or intravenous antibiotics	4 982 (87.7%)
Azithromycin	2 634 (46.4%)
Pancreatic extracts	4 541 (79.9%)
Fat-soluble vitamins	4 980 (87.7%)
Ursodeoxycholic acid	1 610 (28.3%)
Antidiabetics	
Oral antidiabetics	159 (2.8%)
Insulin	1 027 (18.1%)
Anti-osteoporotics	273 (4.8%)

Other treatments	Number of consumers (%)
Oral Corticosteroids	2 396 (42.2%)
Inhaled Corticosteroids	555 (9.8%)
Antifungals (oral use)	712 (12.5%)
Antifungals (systemic use)	925 (16.3%)
Proton pump inhibitors	2 841 (50.0%)
Antidepressants	412 (7.3%)
Anxiolytics	607 (10.7%)
Oral supplementation	1 017 (17.9%)
Immunosuppressants	809 (14.2%)
Ambulatory hospitalisations	4 901 (86.3%)
Conventional hospitalisations	1 968 (34.6%)
Medical devices	4 230 (74.5%)
Oxygen therapy	243 (4.3%)
Assisted ventilation	145 (2.6%)
Aerosol delivery devices	4 116 (72.5%)
Enteral nutrition	317 (5.6%)
Parenteral nutrition	111 (2.0%)
Transports	2 895 (51.0%)
Daily allowances (in nb of days)	674 (11.9%)

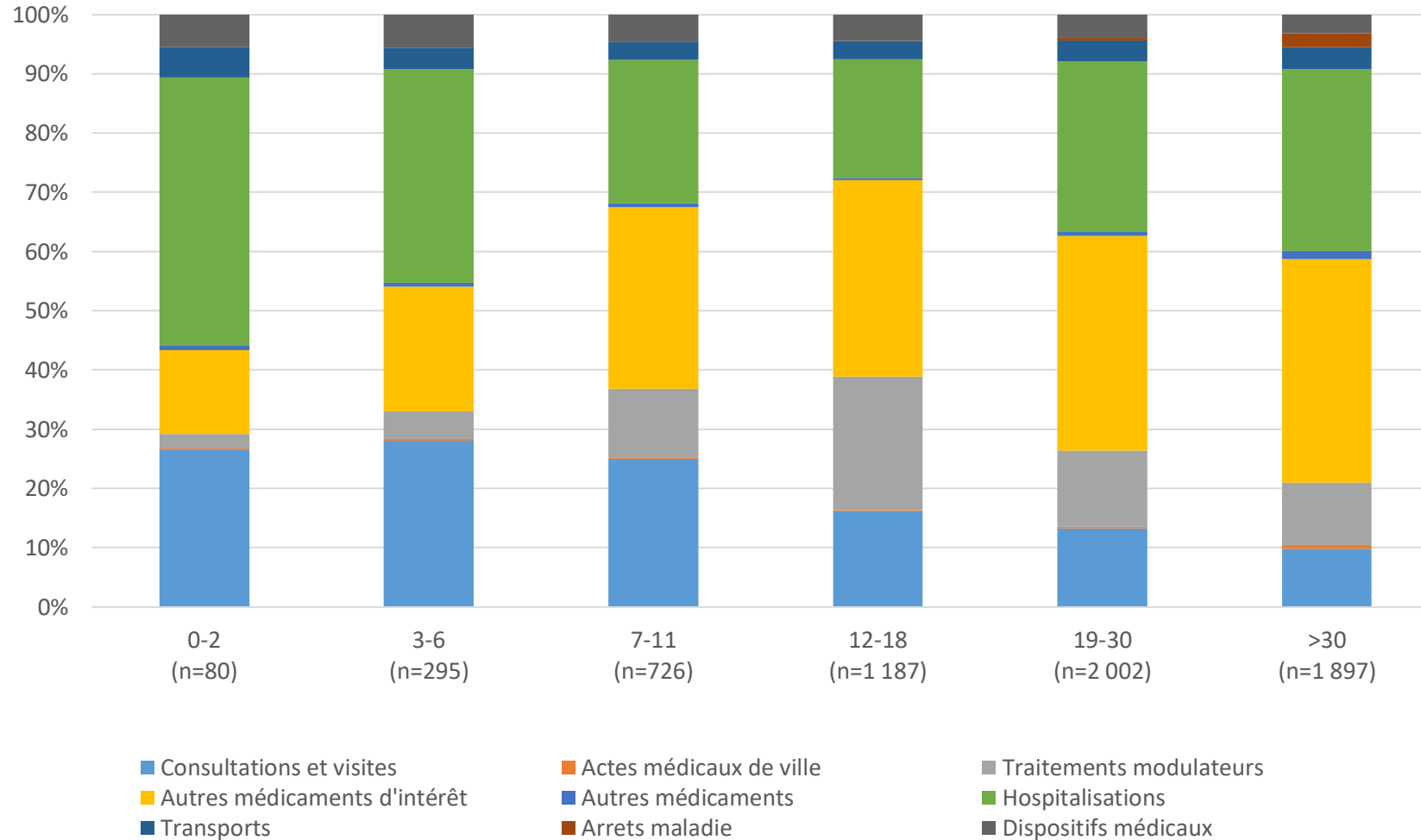
Répartition des grands postes de consommation de soins au cours du temps



* n = Nombre de patients présents sur la totalité d'une année calendaire

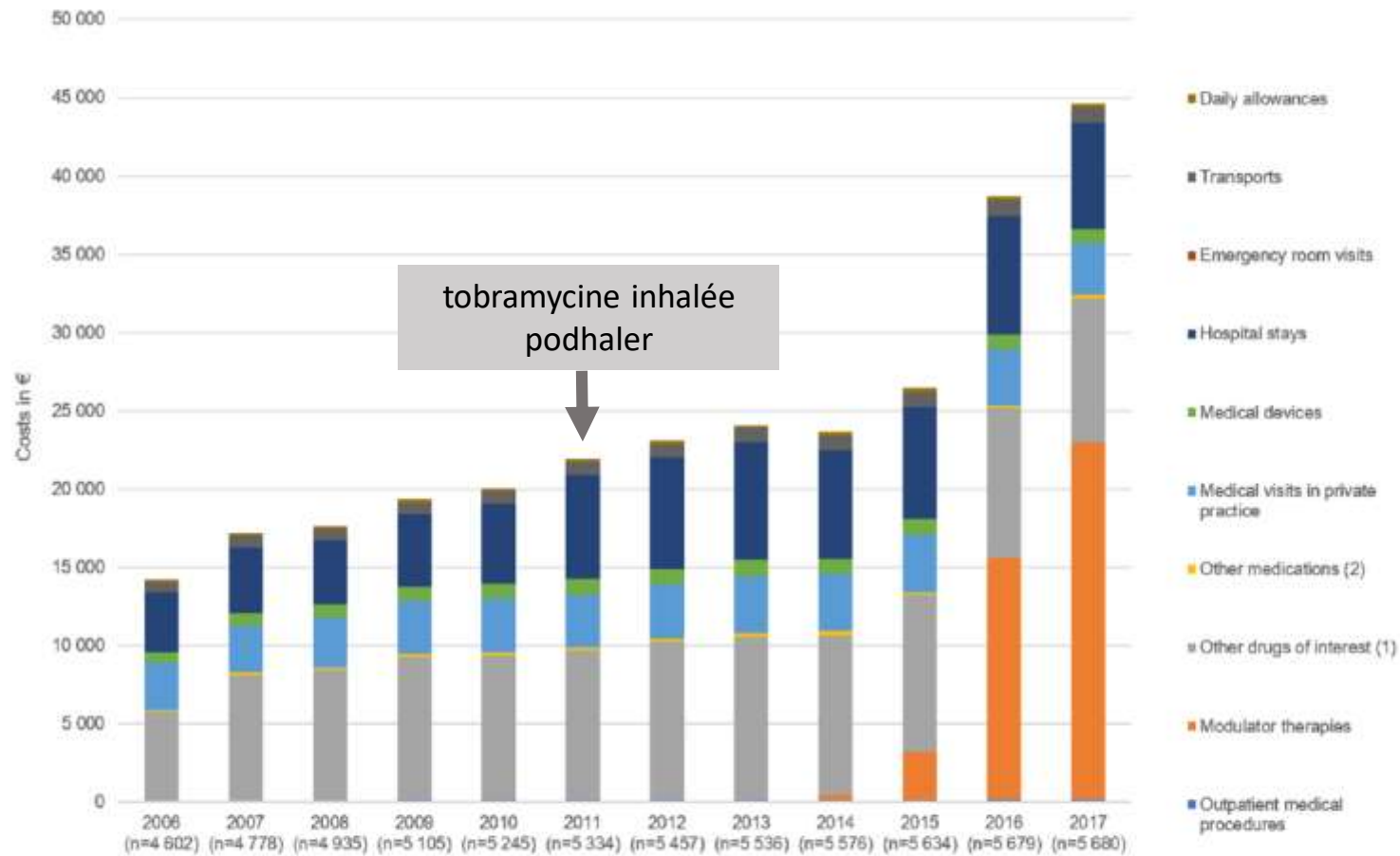
Répartition des grands postes de consommation de soins par tranche d'âge

Total (moy) (med)	18 759 (19 114)	16 740 (15 325)	19 441 (16 369)	29 570 (22 839)	31 728 (24 235)	29 408 (22 584)
----------------------	--------------------	--------------------	--------------------	--------------------	--------------------	--------------------



* n = Nombre de patients présents sur l'ensemble du suivi

Coût moyen par patient, par type de dépense et par année calendaire

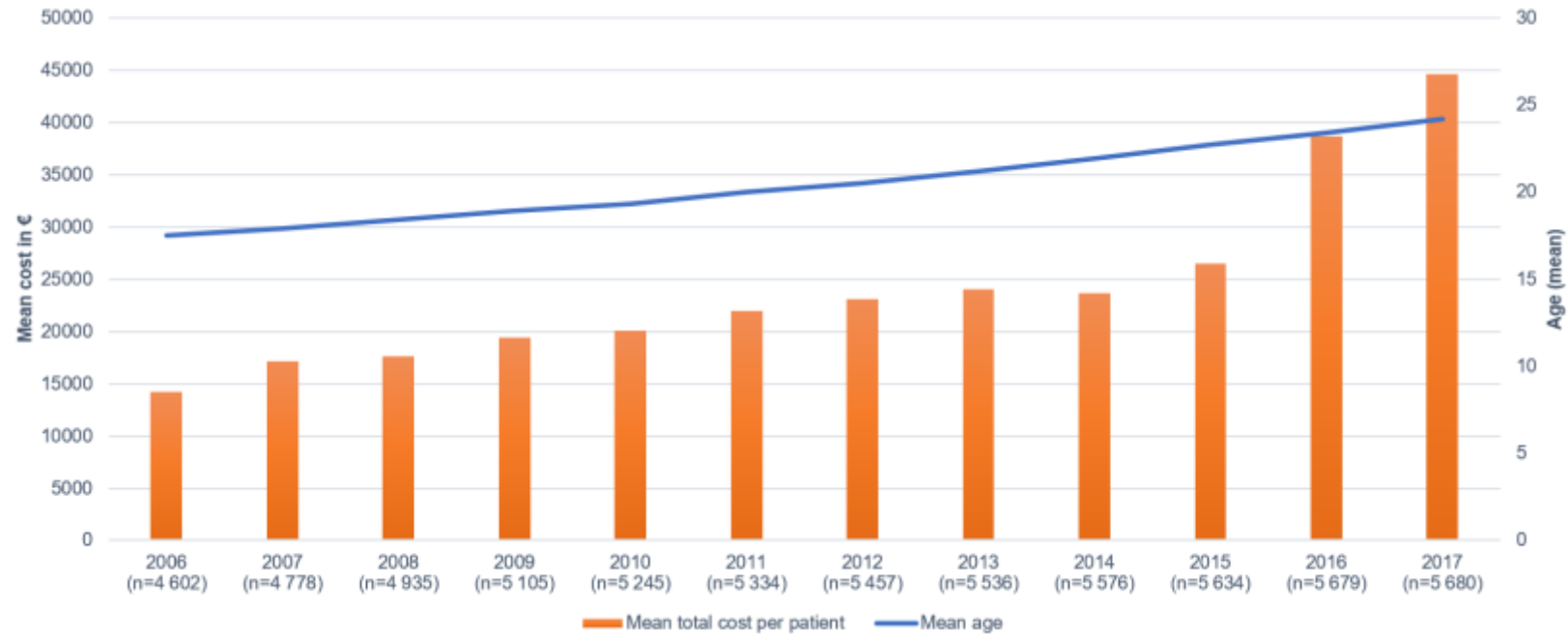


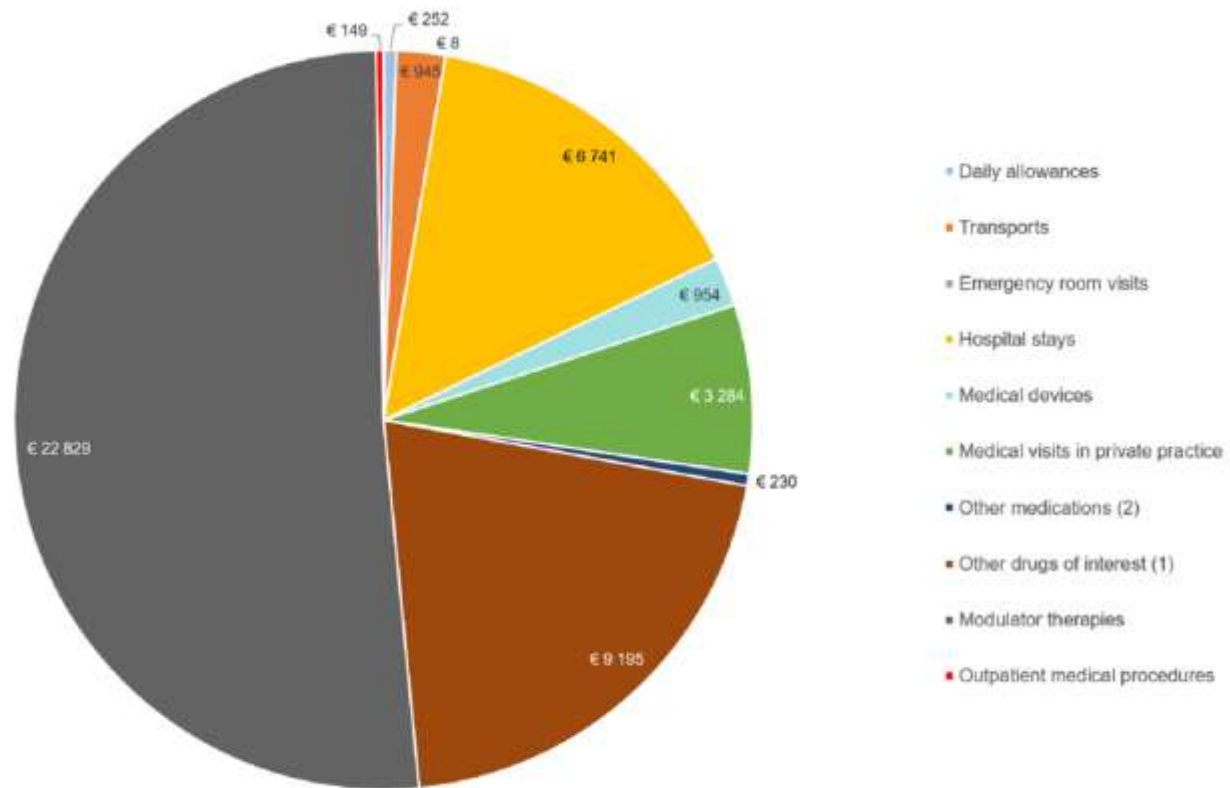
- 1) Drugs of interest for the management of cystic fibrosis other than CFTR modulator therapies (i.e. RhdNase, antibiotics, pancreatic enzymes, vitamins, insulin, etc.)
- 2) Drugs other than CFTR modulator therapies and drugs of interest for the management of cystic fibrosis (i.e. analgesics, antidepressants, etc.)

tobramycine inhalée

modulateurs

Temporal evolution of age and HCRU-related costs





Distribution des coût par patients en 2017:

- 72 % de médicaments dont
 - 51 % pour les modulateurs
- 15% pour l'hospitalisation
- 7 % pour les venues ambulatoires
- 3 % coûts indirects
- 2 % dispositifs médicaux

1) Drugs of interest for the management of cystic fibrosis other than CFTR modulator therapies (i.e. RHDNase, antibiotics, pancreatic enzymes, vitamins, insulin, etc.)
 2) Drugs other than CFTR modulator therapies and drugs of interest for the management of cystic fibrosis (i.e. analgesics, antidepressants, etc.)

Conclusion de cette première analyse

- Cout moyen par patient x 3 entre 2006 et 2017
- Cout porté essentiellement par les traitements médicaux et parmi eux les modulateurs
- L'impact des modulateurs sur les couts associés (le nombre d'hospitalisations ou les traitements associés) n'est pas susceptible d'influer significativement sur le cout global

AS-ECFS-2021-00403 (accepté en communication orale)

Cancer incidence and prevalence among patients with Cystic Fibrosis: data from the National French Cystic Fibrosis Registry

C. Rousset-Jablonski, F. Dalon, Q. Reynaud, L. Lemonnier, C. Dehillotte, M. Berard, F. Jacoud, M. Viprey, E. Van Ganse, M. Belhassen, I. Durieu

Perspectives

- Étude des consommations de soins par groupe phénotypique (PR Burgel)
- PHRC « MODUCO »: *L'efficacité des modulateurs de CFTR est-elle réduite lors d'un arrêt ou d'une réduction des traitements symptomatiques associés ? Une étude comparative de l'efficacité en vie réelle à partir des données du registre français de la mucoviscidose, couplées aux données du Système National des Données de Santé.*
- Impact des modulateurs du CFTR sur la prise en charge des patients atteints de la mucoviscidose: Comparaison de cohortes (Vertex- VLM)
- Chainage déterministe ? (AMI-ANR)
- Étude de l'évolution des parcours de soins

Remerciements

Vaincre la mucoviscidose: soutien financier

Clémence Dehillotte et Lydie Lemonnier

PELyon: Manon Belhassem, Faustine Dalon, Eric VanGanse

RESHAPE: Marie Viprey