



Épidémiologie et prise en charge thérapeutique des patients atteints d'amyotrophie spinale en France de 2011 à 2022

Étude en vie réelle à partir de la base de données du Système National de Données de Santé (SNDS)

Isabelle Desguerre¹, Anne Sophie Lot², Andoni Urtizberea³, Helene Denis⁴, Guillaume Leiba⁵, Aurélie Schmidt⁴, Aymeric de Chasteigner⁵, Arnaud Panes⁴, Isabelle Borget⁶, Susana Quijano-Roy⁷

1. Hôpital Necker Enfants Malades, APHP, Paris, France ; 2. Hôpital Raymond-Poincaré, Garches, France ; 3. Institut de myologie, Paris, France ; 4. Heva, Lyon, France ; 5. Novartis Pharma, Rueil Malmaison, France ; 6. Master2 Market-Access and Economic Evaluation, ORSAY, 91, France ; 7. Garches Neuromuscular Reference Center (GNMH), APHP Raymond Poincare University Hospital (UVSQ Paris Saclay), Garches, France

Introduction

L'amyotrophie spinale (SMA) est une maladie génétique qui affecte le système nerveux central et périphérique, ainsi que les mouvements musculaires volontaires.

Au cours des dernières années, 3 Thérapies Modifiant l'histoire naturelle de la Maladie (TMM), ont été lancées en France, améliorant la prise en charge des patients atteints de SMA : le **nusinersen** avec un accès via le programme d'accès précoce nominatif depuis mi-2016, l'**onasemnogene abeparvovec** depuis 2019 et le **risdiplam** depuis 2020.

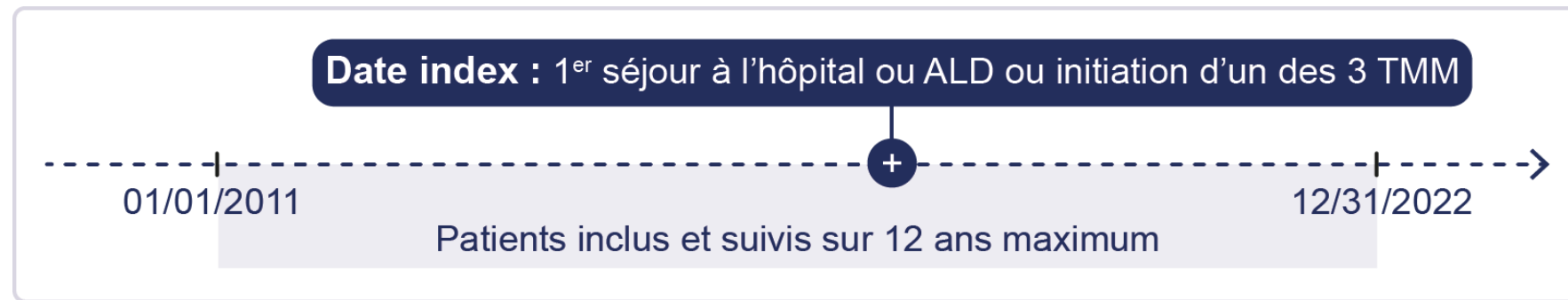
Cette étude a pour objectif de fournir des données réelles concernant l'épidémiologie, la gestion des options thérapeutiques, les parcours de soins et les coûts entre 2011 et 2022.

Méthodologie

Source de données

Base de données de l'Assurance Maladie française (**SNDS**), qui contient des données sociodémographiques et des informations sur l'ensemble des dépenses de santé.

Période d'étude



Méthodologie

Population d'étude

Tous les patients identifiés dans le Système National des Données de Santé (SNDS) avec ≥ 1 **séjour hospitalier ou ALD** liés à la SMA (codes ICD-10 : G120, G121, G128, G129) ou ayant reçu l'un des **TMM** ont été inclus.

Identification des sous groupes

En l'absence de classification de la gravité de la SMA dans le SNDS, des algorithmes cliniques validés par des experts ont permis de catégoriser les patients dans l'un des 3 types cliniques reconnus de SMA:

SMA1

(G12.0 ou G12.1) **OU** (G12.8 ou G12.9
avec au moins une administration de TMM)

ET

Âge < 12 mois à la date index

SMA2

(G12.0 ou G12.1) **OU** (G12.8 ou G12.9
avec au moins une administration de TMM)

ET

$12 \leq \text{âge} < 27$ mois à la date index

SMA3

Avec au moins une administration de TMM
ET non traités par riluzole (utilisé
seulement pour la SLA) **OU** G12.0

ET

≥ 24 ans à la date index

Méthodologie

Analyses

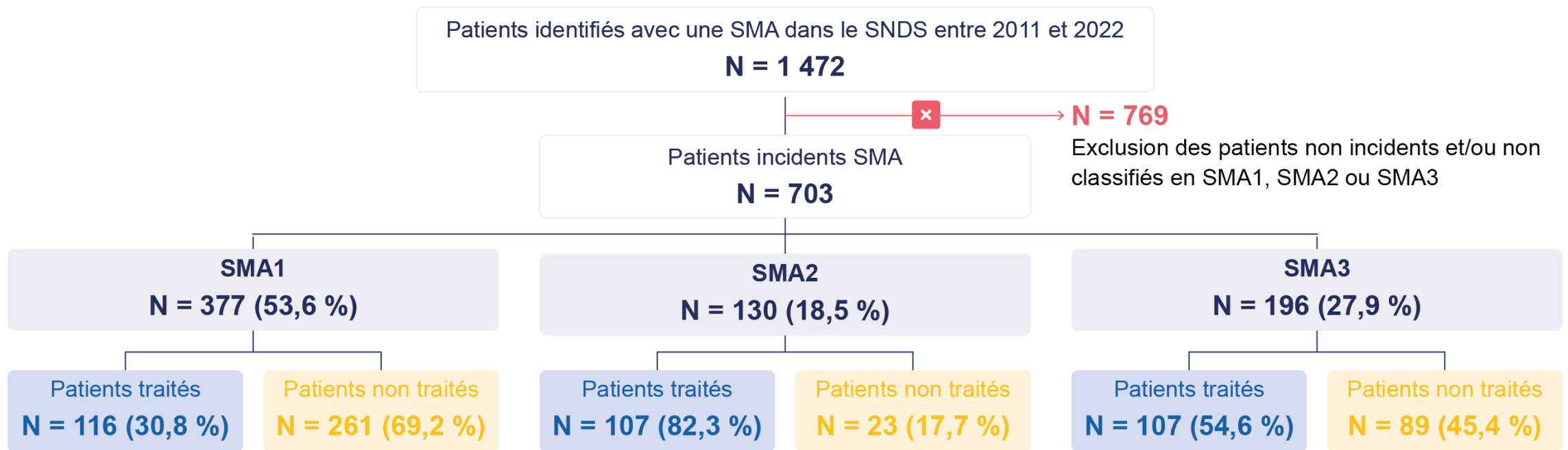
Les **patients traités** ont tous reçu au moins une fois nusinersen, risdiplam et/ou onasemnogène abeparvovec au cours de la période d'étude.

Les analyses ont été effectuées sur les patients **incidents** (c'est-à-dire que les patients ayant un code CIM10 de SMA identifié avant janvier 2011 ont été exclus).

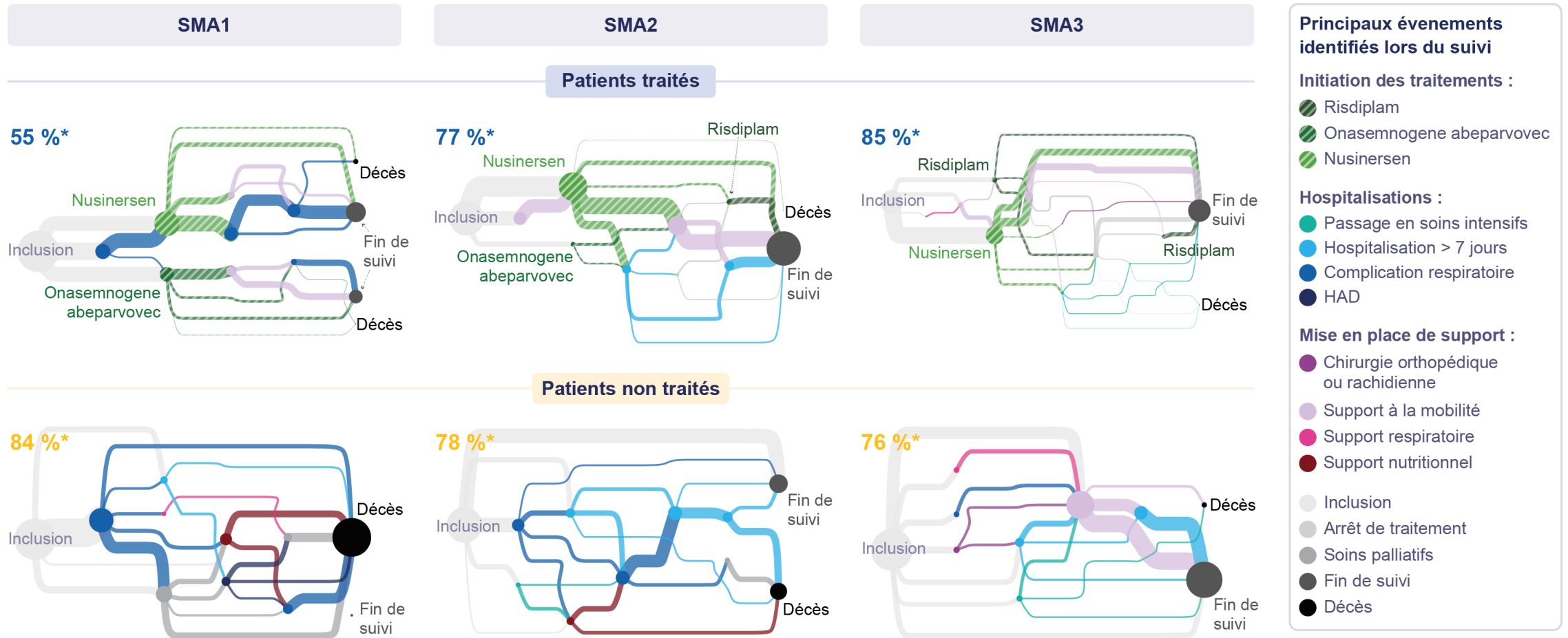
L'analyse des parcours de soins a été réalisée à l'aide d'une **méthode d'IA de type process mining**.

La consommation de soins a été évaluée selon la perspective de l'assurance maladie nationale en € 2023 en fonction des années de suivi.

Résultats - Population d'étude



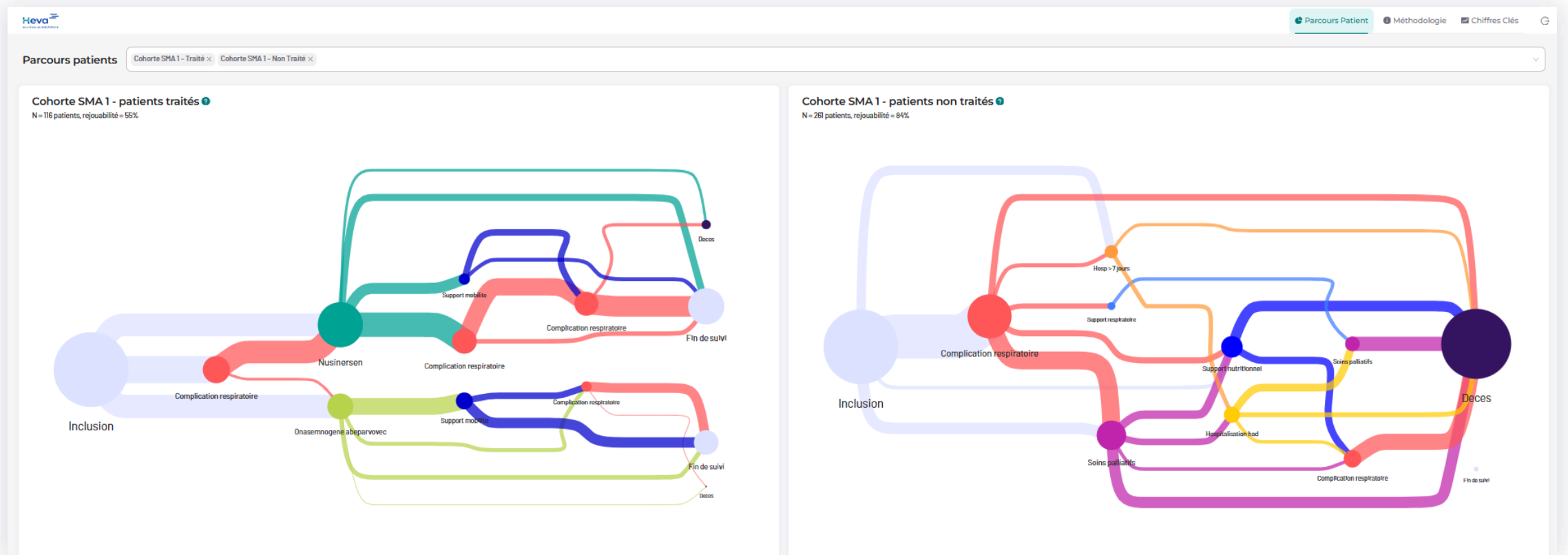
Résultats - Parcours de soins



*Pourcentage des parcours de soins des patients représentés par chaque graphique (score de rejouabilité)

Résultats - Parcours de soins

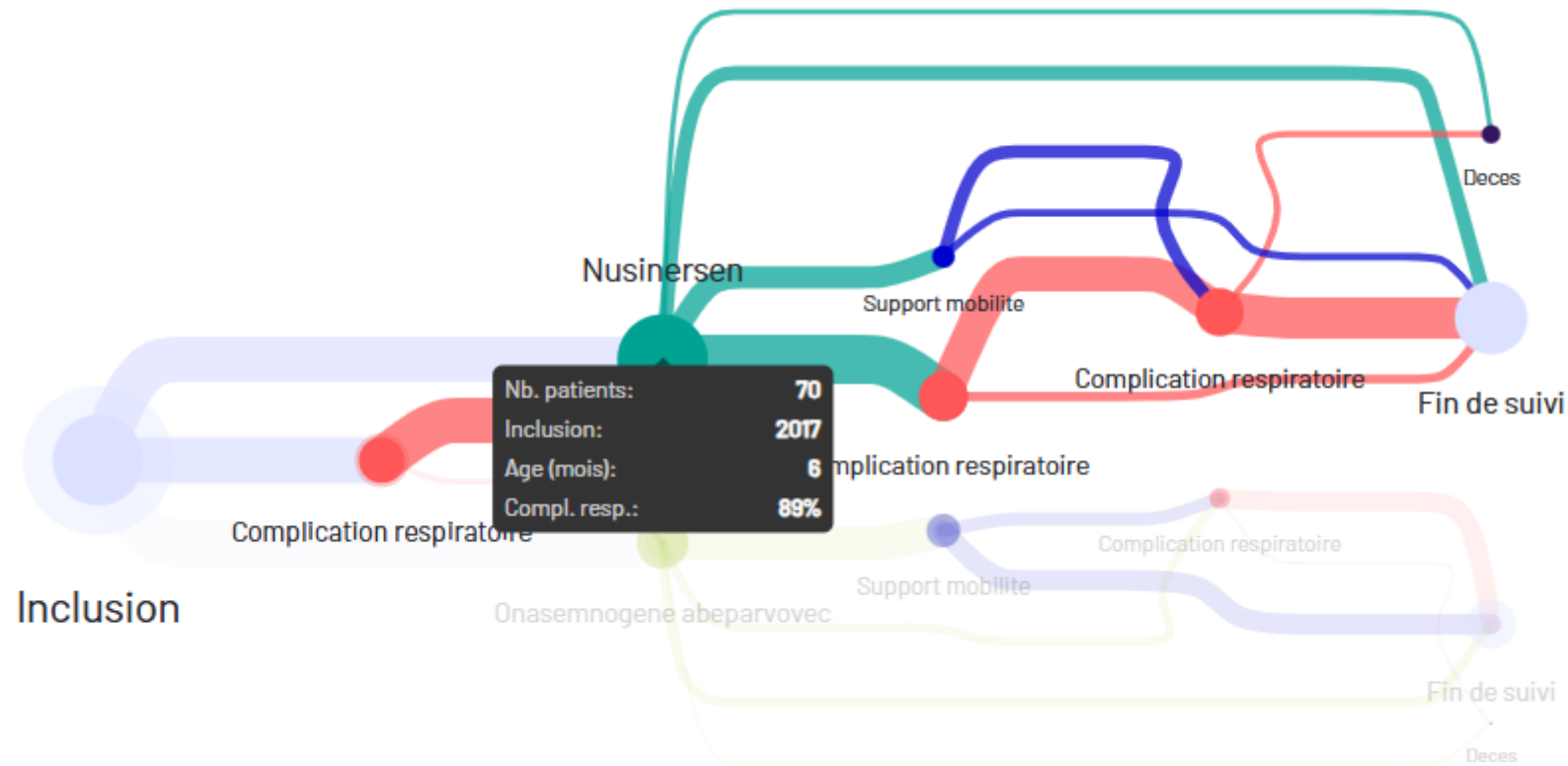
Démo interactive



Résultats – Descriptif des patients disponibles à chaque étape clé du parcours

Cohorte SMA 1 - patients traités ?

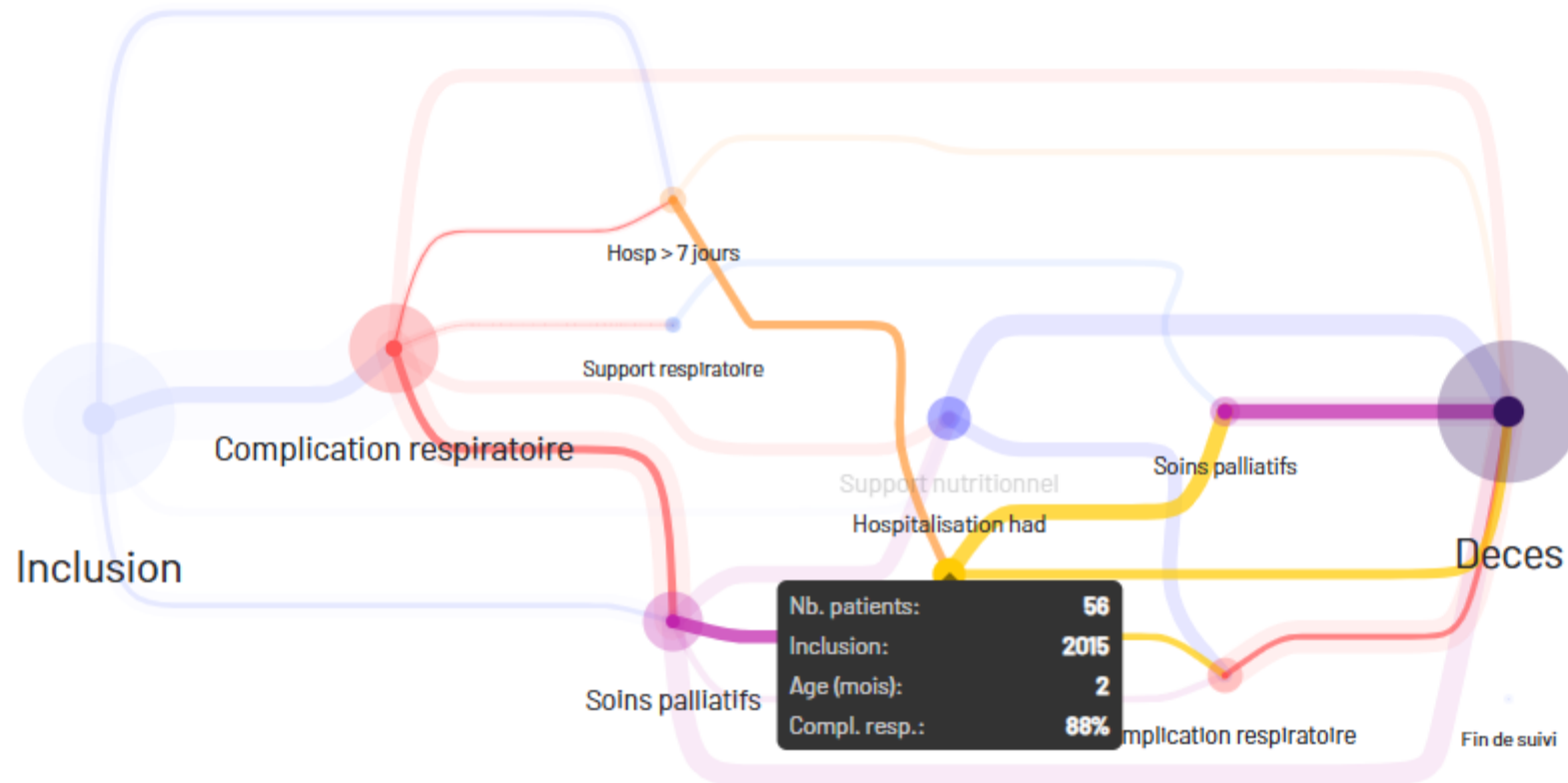
N = 116 patients, rejouabilité = 55%



Résultats – Descriptif des patients disponibles à chaque étape clé du parcours

Cohorte SMA 1 - patients non traités ?

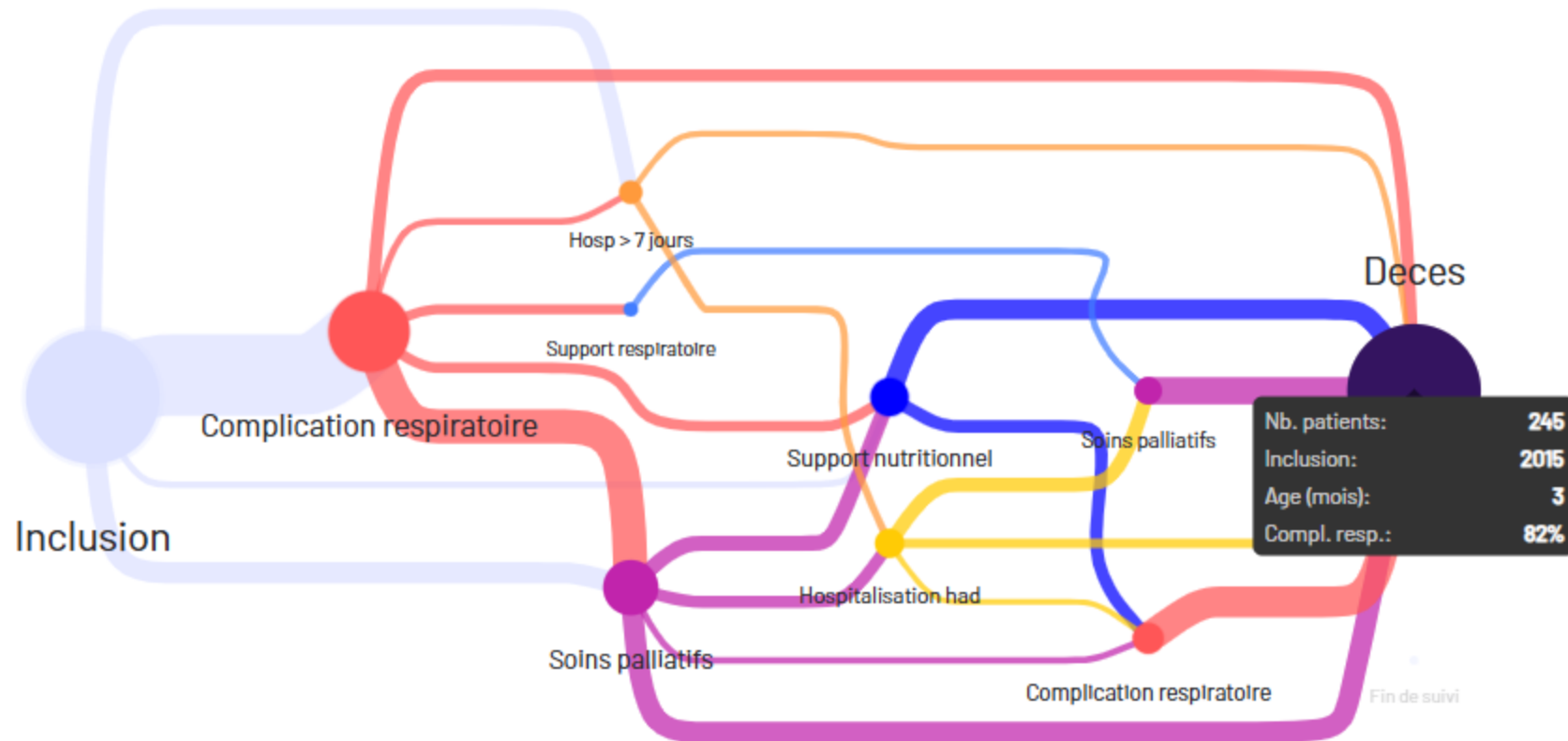
N = 261 patients, rejouabilité = 84%



Résultats – Descriptif des patients disponibles à chaque étape clé du parcours

Cohorte SMA 1 - patients non traités ?

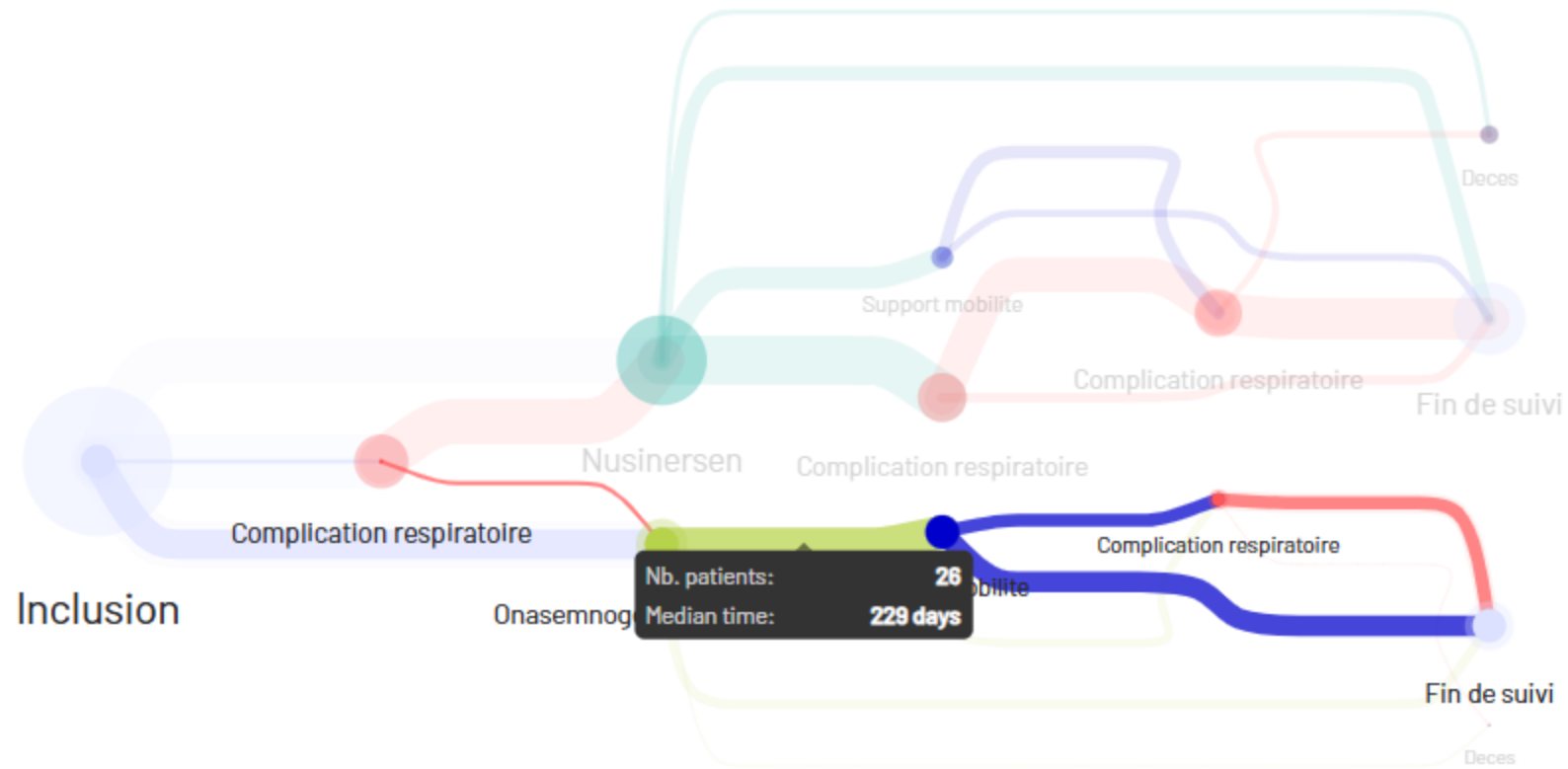
N = 261 patients, rejouabilité = 84%



Résultats – Durées médianes entre les étapes clés

Cohorte SMA 1 - patients traités ?

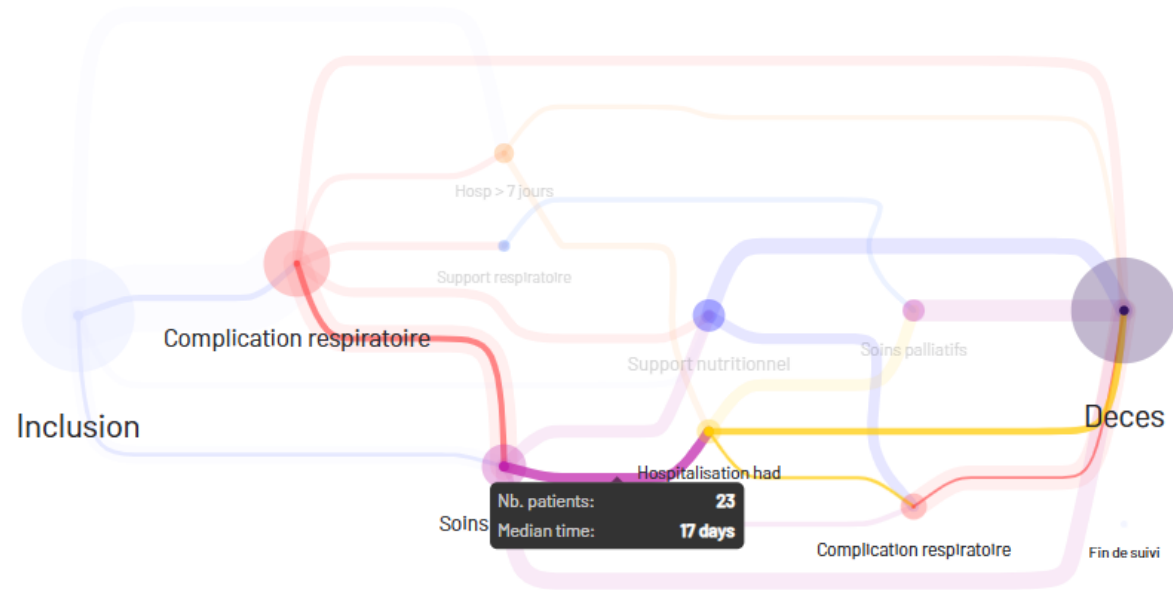
N = 116 patients, rejouabilité = 55%



Résultats – Durées médianes entre les étapes clés

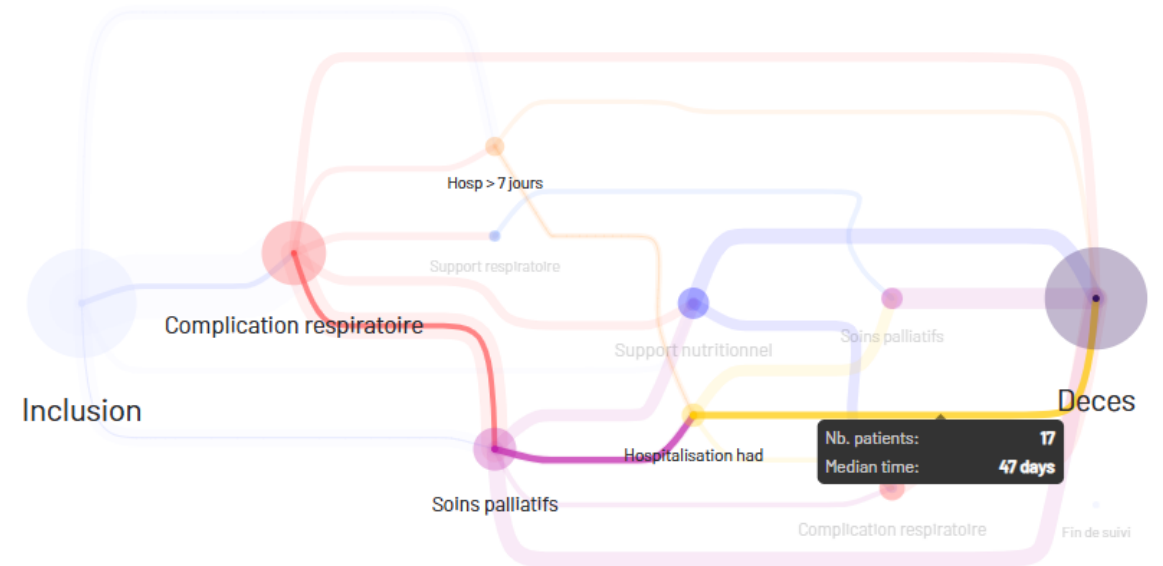
Cohorte SMA 1 - patients non traités ?

N = 261 patients, rejouabilité = 84%

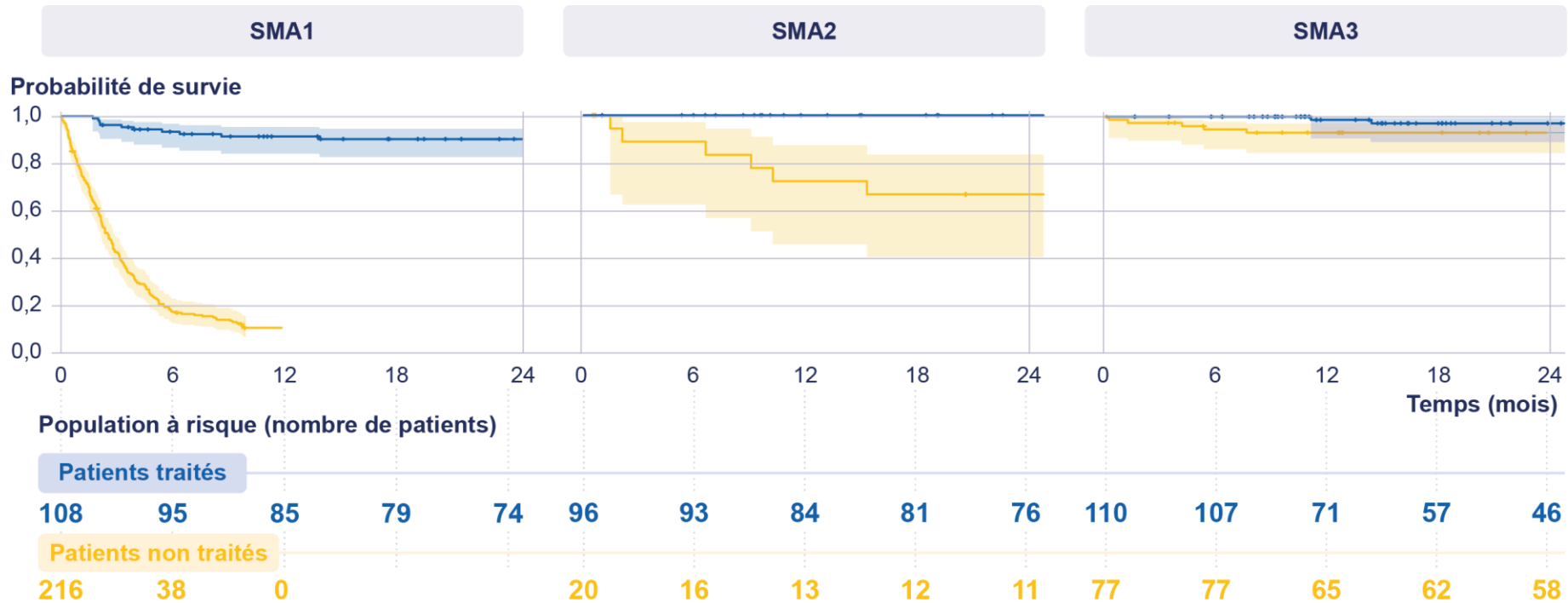


Cohorte SMA 1 - patients non traités ?

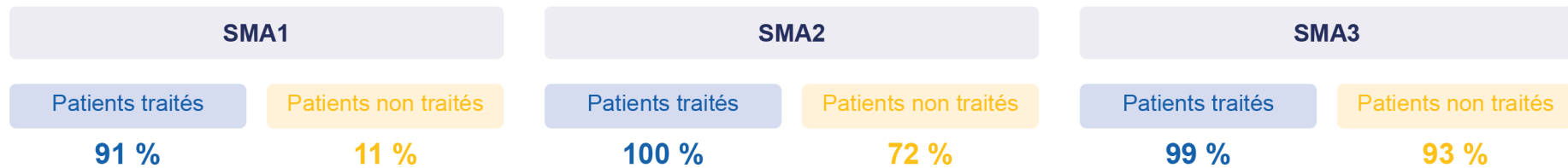
N = 261 patients, rejouabilité = 84%



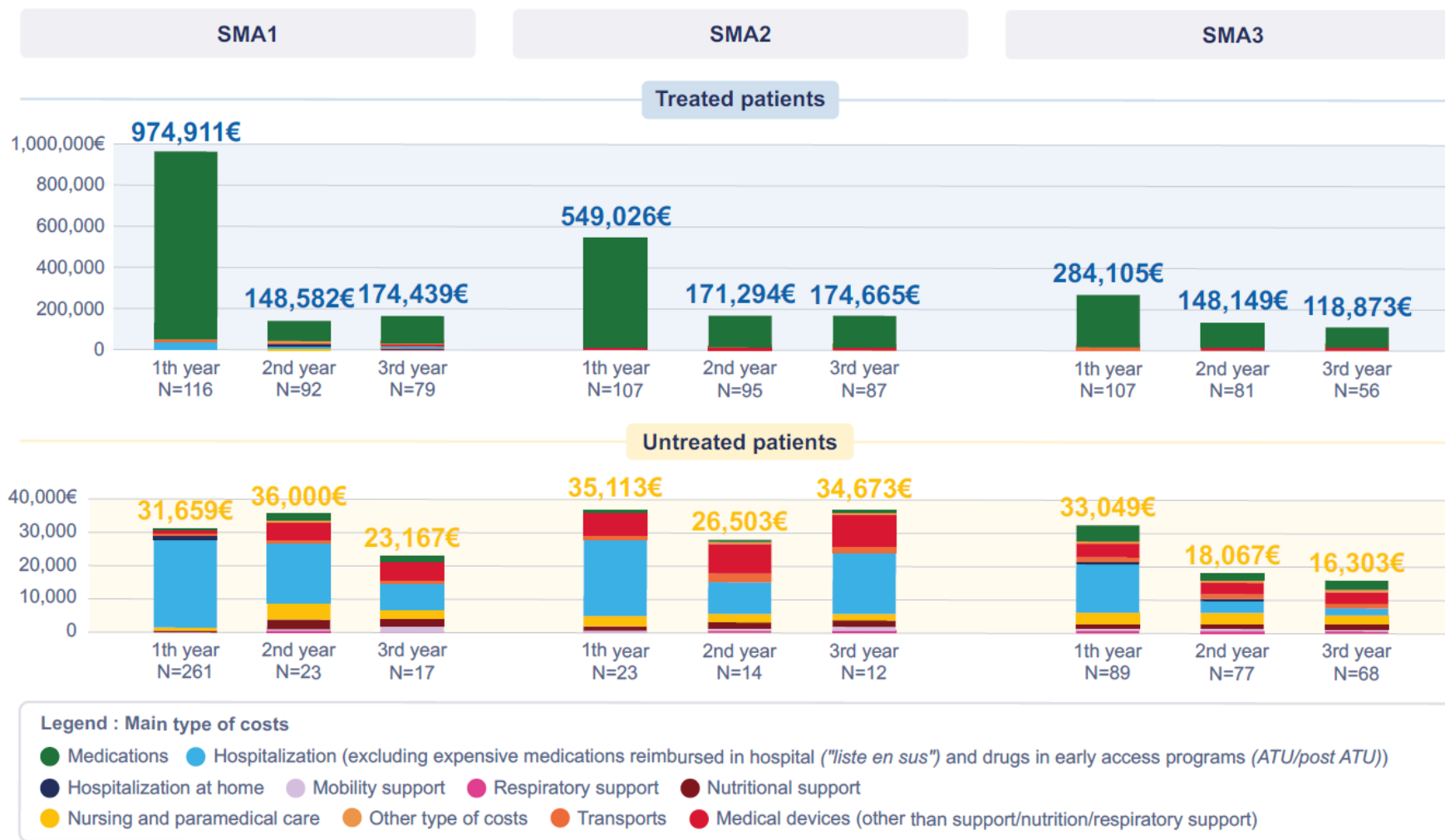
Résultats - Probabilité de survie



Probabilité de survie à 12 mois



Résultats - Coûts moyen remboursé par patient au cours des 3 premières années de suivi



Conclusion

Cette étude en **vie réelle** montre l'impact majeur des thérapies innovantes sur les parcours de soins des patients atteints de SMA, notamment pour les formes les plus sévères (SMA1), avec une **amélioration notable de la survie**.

Les résultats confirment également une **réduction des complications** et une **prise en charge optimisée grâce à ces traitements**. Cependant, des efforts restent nécessaires pour favoriser l'accès aux soins et les parcours de prise en charge de ces patients.



Merci pour votre attention

Considérations éthiques et réglementaires

Cette étude SNDS, enregistrée auprès du HDH sous la référence T94955362022081, a été autorisée par le CESREES le 22/09/2022 et par la CNIL le 30/11/2022 (DR-2022-258 (demande 922250)) - Convention CNAM signée 12/09/2023.

Remerciements

Les auteurs tiennent à remercier les équipes de la Direction de la stratégie, des études et des statistiques, du Département Accès, Traitement et Analyse de la Donnée et des Demandes Externes de la Caisse nationale de l'assurance maladie (CNAM) pour l'extraction des données.

Financement

Cette étude a été financée par Novartis et les analyses ont été réalisées par le bureau d'étude Heva.