

Description socio-épidémiologique et parcours de soins hospitaliers des patients atteints d'amyotrophie spinale proximale

Corentin Bismuth¹, Hicham Hadjrabia¹, Agathe Doutriaux¹, Antoine Rodet¹, Muriel Reiss¹, Elise Delaunay¹, Nicolas Pagès², Sacha Hiridjee², Marine Bertrand², Alexandre Vainchtock², Aurélie Schmidt²

¹ BIOGEN France, Paris, France, ² Heva, Lyon, France

Introduction

L'amyotrophie spinale proximale liée au gène SMN1, également appelée amyotrophie spinale infantile ou encore *spinal muscular atrophy* (SMA), est une maladie d'origine génétique rare qui touche de 80 à 100 enfants à la naissance chaque année en France.¹ Le premier symptôme est une faiblesse musculaire qui retentit sur les capacités motrices et la fonction respiratoire. On distingue quatre types cliniques sur la même base physiopathologique¹. Nusinersen (Spinraza[®]) est indiqué dans le traitement de la SMA en France depuis 2017^{2,3}.

Objectifs

Objectif principal :

- Estimer le nombre de patients traités par nusinersen en France en 2019, 2020 et 2021 ainsi que le nombre de nouveaux patients en 2021, par type de SMA.

Objectifs secondaires :

- Décrire les caractéristiques des patients (âge et sexe) traités par nusinersen en France en 2021, par type de SMA.
- Décrire les séjours hospitaliers des patients traités par nusinersen en France en 2021.

Méthode

Critères et période d'inclusion :

- L'ensemble des patients ayant eu une administration de nusinersen entre le 1^{er} Janvier 2019 et le 31 Décembre 2021 retrouvée dans le PMSI (Programme de Médicalisation des Systèmes d'Information) a été inclus.

Sous-groupes :

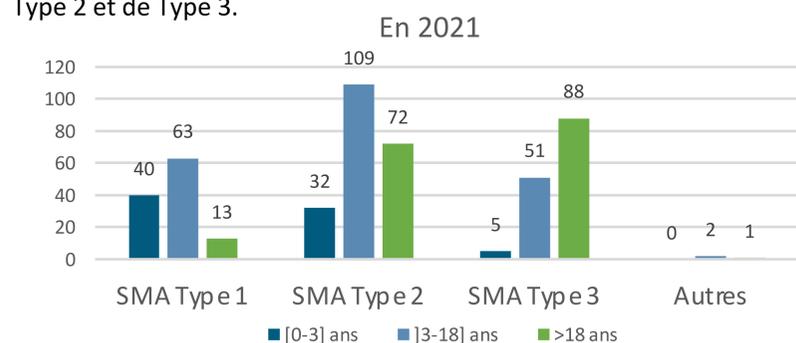
- La population d'analyse est répartie en cinq cohortes : SMA type 1, SMA type 2, SMA type 3, SMA pré-symptomatique et autres indications^b. Le type de SMA a été défini à partir des codes liste en sus (LES) présents dans le FICHCOMP-LES.

Résultats

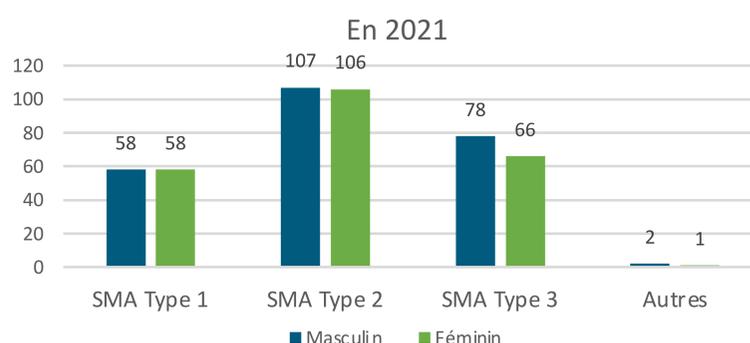
Entre 2019 et 2021, **620 patients ont reçu au moins une administration de nusinersen.**

Le nombre de patients traités par nusinersen a augmenté annuellement en 2019, 2020 et 2021 (337, 444 et 477 patients respectivement). (Tableau 1)

En 2021, **l'âge moyen des 477 patients était de 17 (SD 16) ans** avec un âge maximal de 64 ans. Il était plus spécifiquement de 8 (SD 11) ans pour la SMA de type 1, 15 (SD 13) ans pour la SMA de type 2 et de 27 (SD 17) ans pour la SMA de type 3. **Le ratio H/F était globalement équilibré** pour la SMA de Type 1, de Type 2 et de Type 3.



Graphique 1 : Répartition des patients par âge selon le type de SMA en 2021



Graphique 2 : Répartition des patients par sexe selon le type de SMA en 2021

Les **477 patients traités par nusinersen en 2021** (incluant les patients nouvellement traités) ont reçu **en moyenne 3,1 (SD 1,1) administrations de nusinersen.** Parmi eux, les 122 **nouveaux patients** ont reçu **en moyenne 4,2 (SD 1,3) administrations de nusinersen.** (Tableau 2)

Le schéma posologique recommandé est de 4 doses de charge aux jours 0, 14, 28 et 63 ; suivies d'une dose d'entretien administrée tous les 4 mois⁴. Un patient nouvellement traité reçoit 6 administrations de nusinersen la première année de traitement, puis 3 doses d'entretien par an. A noter que le nombre moyen d'administrations des patients nouvellement traités est de 4,2 administrations car les extractions du PMSI sont sur des années calendaires et les patients ont pu initier leur traitement en cours d'année.

Tableau 2: Nombre d'administrations de nusinersen par patient

	2021	Population totale des patients traités	Nouveaux patients traités
N		477	122
Moyenne		3,1	4,2
SD		1,1	1,3
Min - Max		1-6	1-6

Tableau 3 : Description des séjours en 2021 et répartition des GHM

A : Séjours avec administration de nusinersen

Code GHM	Libellé GHM	N	%
Hospitalisation en HDJ			
Total			
28Z17Z	Chimiothérapie pour affection non tumorale, en séances	896	79%
01M32Z	Explorations et surveillance pour affections du système nerveux	186	16%
Divers	Autres	51	5%
Hospitalisation complète			
Total			
23M091	Chimiothérapie pour affections non tumorales, niveau 1	236	68%
01M081	Maladies dégénératives du système nerveux, âge inférieur à 80 ans, niveau 1	51	15%
Divers	Autres	59	17%

B : Séjours sans administration de nusinersen

Code GHM	Libellé GHM	N	%
Hospitalisation en HDJ			
Total			
01M32Z	Explorations et surveillance pour affections du système nerveux	509	65%
28Z17Z	Chimiothérapie pour affection non tumorale, en séances	86	11%
Divers	Autres	188	24%
Hospitalisation complète			
Total			
23K02Z	Explorations nocturnes et apparentées : séjours de moins de 2 jours	15	5%
23M20Z	Autres symptômes et motifs de recours aux soins de la CMD 23	15	5%
Divers	Autres	289	90%

Tous les séjours ont été réalisés dans un établissement public.

Une grande majorité de séjours, avec et sans administration de nusinersen (77% et 71%, respectivement), a eu lieu en hospitalisation de jour (HDJ). (Tableau 3.A et 3.B)

Les GHM (groupes homogènes de séjours) les plus utilisés pour chaque type de séjour, avec et sans administration de nusinersen, sont présentés dans le Tableau 3.

Conclusions

- Cette étude montre une augmentation du nombre de patients traités par nusinersen entre 2019 et 2021 avec 122 nouveaux patients en 2021.
- Tous les séjours ont eu lieu dans un établissement public, dont la grande majorité en hospitalisation de jour.

Sources : 1. AFM Téléthon, Amyotrophie spinale proximale liée à SMN1 2022 ; 2. HAS, Avis de CT Spinraza[®] 2018 ; 3. HAS, Avis de CT Spinraza 2020 ; 4. EMA, RCP Spinraza[®] 2017

Abbreviations : GHM : groupe homogène de séjours ; HDJ : hospitalisation de jour ; LES : liste en sus ; PMSI : programme de médicalisation des systèmes d'information ; SD : standard deviation ; SMA : spinal muscular atrophy