

Coût des maladies rares en France en 2017

Une analyse des données du Système National des Données de Santé (SNDS) sur 5 pathologies

Anne Duburcq¹, Célia Mercier², Daniel Scherman², Pierre Lévy³, Nadia Bahi-Buisson^{4,5}, Isabelle Desguerre⁶, Frédéric Galactéros⁷, Guillaume Jondeau⁸, Sophie Susen⁹, Laurène Courouve¹, Bruno Detournay¹

1-CEMKA, 2-Fondation Maladies Rares, 3-Université Paris-Dauphine, 4-Hôpital Necker, 5-Institut Imagine, 6-Hôpital Necker, 7-GHU Henri Mondor, 8-Hôpital Bichat, 9-CHU Lille

- **CONTEXTE** : fort intérêt de disposer de données de coûts pour les maladies rares -> intérêt d'un travail méthodologique sur l'évaluation de ces coûts via le SNDS, porté par la Fondation Maladies Rares
- **OBJECTIF** : évaluer les **coûts directs** de la prise en charge médicale de certaines pathologies rares et estimer le **surcoût spécifique** lié à la maladie
- **BASES DE DONNEES** : SNDS
- **POPULATION** : 5 pathologies rares identifiables à partir de codes diagnostics et sélectionnées de manière à illustrer des **situations et manifestations morbides contrastées**

Syndrome de Rett

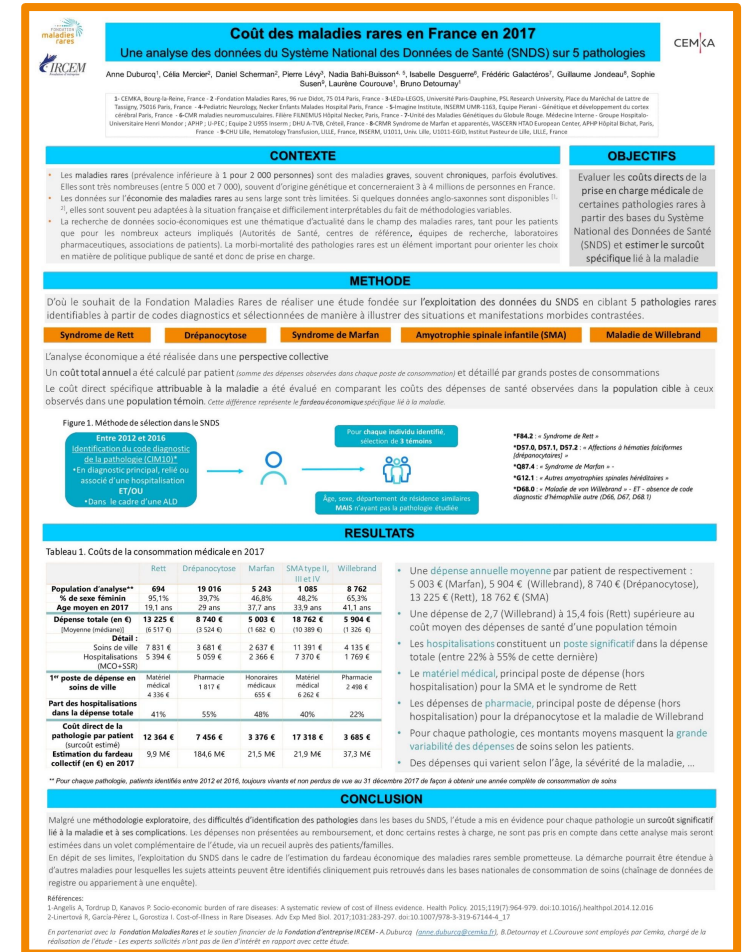
Drépanocytose

Syndrome de Marfan

Amyotrophie spinale infantile (SMA)

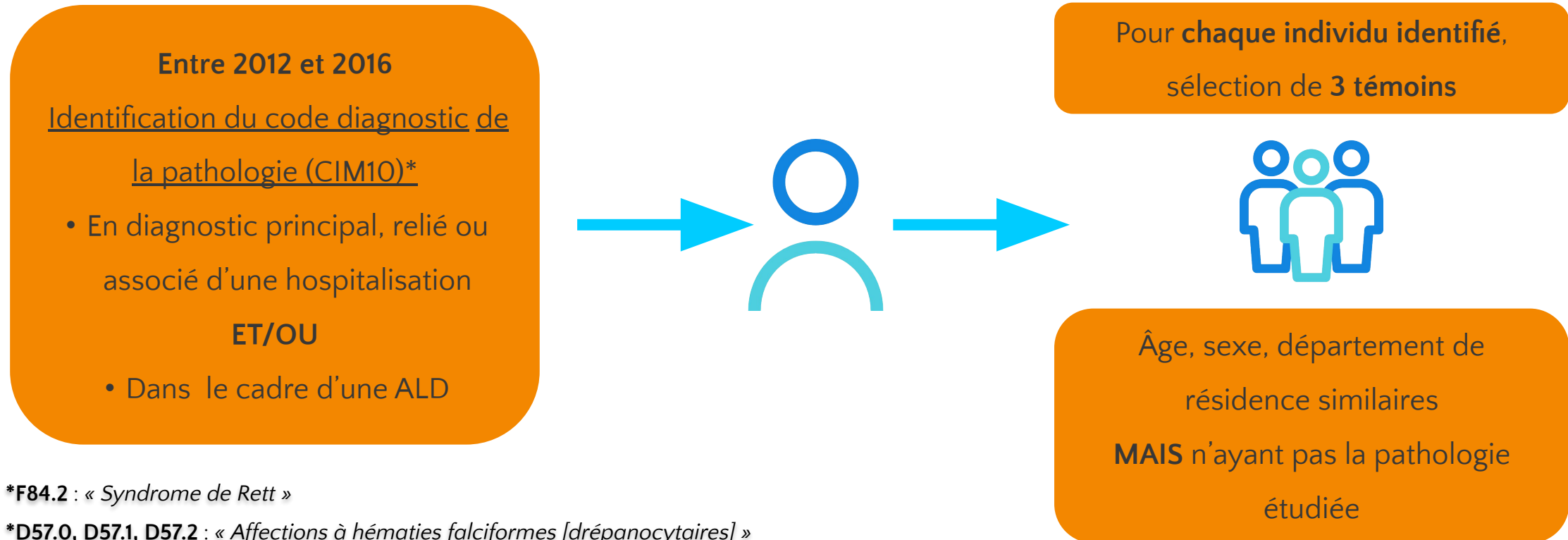
Maladie de Willebrand

- **PERIODE D'ANALYSE** : données de consommation de soins étudiées sur une année complète (2017). Analyse économique conduite en date de soins et non en date de remboursement des soins
- **COMITE SCIENTIFIQUE** et travail avec des experts des 5 pathologies



MÉTHODE DE SÉLECTION DANS LE SNDS

Coût direct spécifique attribuable à la maladie évalué en comparant les coûts des dépenses de santé observées dans la population cible à ceux observés dans une population témoin.



*F84.2 : « Syndrome de Rett »

*D57.0, D57.1, D57.2 : « Affections à hématies falciformes [drépanocytaires] »

*Q87.4 : « Syndrome de Marfan » -

*G12.1 : « Autres amyotrophies spinales héréditaires »

*D68.0 : « Maladie de von Willebrand » - ET - absence de code diagnostic d'hémophilie autre (D66, D67, D68.1)

RÉSULTATS

Coût total annuel calculé par patient et détaillé par grands postes de consommations.

	Rett	Drépanocytose	Marfan	SMA type II, III et IV	Willebrand
Population d'analyse**	694	19 016	5 243	1 085	8 762
% de sexe féminin	95,1%	39,7%	46,8%	48,2%	65,3%
Age moyen en 2017	19,1 ans	29 ans	37,7 ans	33,9 ans	41,1 ans
Dépense totale (en €)	13 225 €	8 740 €	5 003 €	18 762 €	5 904 €
[Moyenne (médiane)]	(6 517 €)	(3 524 €)	(1 682 €)	(10 389 €)	(1 326 €)
Détail :					
Soins de ville	7 831 €	3 681 €	2 637 €	11 391 €	4 135 €
Hospitalisations (MCO+SSR)	5 394 €	5 059 €	2 366 €	7 370 €	1 769 €
1 ^{er} poste de dépense en soins de ville	Matériel médical 4 336 €	Pharmacie 1 817 €	Honoraires médicaux 655 €	Matériel médical 6 262 €	Pharmacie 2 498 €
Part des hospitalisations dans la dépense totale	41%	55%	48%	40%	22%
Coût direct de la pathologie par patient (surcoût estimé)	12 364 €	7 456 €	3 376 €	17 318 €	3 685 €
Estimation du fardeau collectif (en €) en 2017	9,9 M€	184,6 M€	21,5 M€	21,9 M€	37,3 M€

- **Dépense annuelle moyenne** par patient allant de 5 003 € (Marfan) à 18 762 € (SMA)
- Dépense de 2,7 (Willebrand) à 15,4 fois (Rett) supérieure au coût moyen des dépenses de santé d'une population témoin
- **Hospitalisations** = poste significatif (de 22% à 55%) dans la dépense totale
- **Matériel médical** = principal poste de dépense (hors hospitalisation) pour la SMA et le syndrome de Rett
- **Dépenses de pharmacie** = principal poste de dépense (hors hospitalisation) pour la drépanocytose et la maladie de Willebrand

*Pour chaque pathologie, ces montants moyens masquent la **grande variabilité des dépenses** de soins selon les patients (selon l'âge, la sévérité de la maladie, ...)*

CONCLUSION

- Mise en évidence pour chaque pathologie d'un surcoût significatif lié à la maladie et à ses complications.
- Dépenses non présentées au remboursement ne sont pas prises en compte dans cette analyse -> Seront estimées dans un volet complémentaire de l'étude, via un recueil auprès des patients/familles sur leurs restes à charge.
- **Le SNDS pour estimer le fardeau économique des maladies rares : des limites mais prometteur et intérêt à étendre la démarche à d'autres maladies.**