

Etude sur le coût des maladies rares en France

Une analyse des données du SNDS

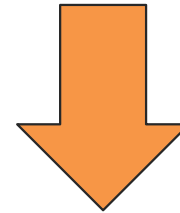
Dr Bruno DETOURNAY – Anne DUBURCQ – Laurène COUROUVE



43, boulevard du Maréchal Joffre
92 340 BOURG-LA-REINE
01 40 91 30 30
www.cemka.fr

Contexte

- Peu de données sur le **coût des maladies rares** en France
- Volonté de la Fondation Maladies Rares de conduire des travaux exploratoires sur ce sujet
- Une opportunité □ ouverture de l'accès aux bases du **SNDS** (Système National des Données de Santé)



Réalisation d'une étude en 2 volets complémentaires :

1-Coût de la prise en charge médicale (via données SNDS)

2-Enquête auprès des patients/familles sur les dépenses pour la prise en charge et les restes à charge (en cours)

Objectifs

- Objectif principal : **évaluer le coût de la prise en charge médicale de maladies rares** identifiables dans les bases du SNDS :
 - ✓ Consommation totale de soins par postes de consommation
 - ✓ Consommation attribuable à la pathologie et/ou à ses complications (comparaison cas-témoin) -> « fardeau » de la maladie
- Choix des pathologies :
 - ✓ variées en termes de manifestations morbides
 - ✓ identifiables dans le SNDS (avis d'experts) -> pas si facile
 - ✓ maladies finalement retenues :
 - Syndrome de Rett
 - Drépanocytose
 - Maladie de Willebrand
 - Amyotrophie spinale infantile (SMA)
 - Syndrome de Marfan

Atouts principaux du SNDS

- Possibilité de chainage des consommations de ville / hôpital pour chaque patient
- Quasi-exhaustivité de la population française
- Exhaustivité des consommations présentées au remboursement
- Estimation directe des coûts prenant en compte, les multiples modalités tarifaires existantes en France et les dépassements d'honoraires
- Mortalité (information exhaustive)
- Possibilité de définir des groupes-témoins

Méthode

1^{er} Volet : Coût de la prise en charge médicale (via données SNDS)

Patient bénéficiaire de la prestation remboursée :

Numéro de sécurité sociale (NIR) crypté
Sexe, année et mois de naissance
Affiliation à la CMU de base, CMU complémentaire
AME (Aide Médicale d'Etat)
Commune de résidence
CPAM d'affiliation
Médecin traitant
Date de décès si applicable

Prestation remboursée :

Nature (consultation, soin infirmier, médicaments...)
Dates de soins (début/fin), de prescription, de remboursement
Dénombrement, durée du soin
Montant de la dépense, base de remboursement, montants remboursé et du dépassement d'honoraire
Code LPP du dispositif médical
Code CIP du médicament délivré en officine
Code biologie de l'examen remboursé
Code CCAM de l'acte technique
Type de transport sanitaire, nombre de km, destination

Données médicales :

Identification de l'ALD et code CIM10 associé
Numéro de maladie professionnelle
Code pathologie (CIM 10) nécessaire à la mise en invalidité
Indirectement (traitements et dispositifs spécifiques d'une affection, ...)
Utilisation d'algorithmes

Professionnel(s) de santé impliqué(s) :

Identification de l'exécutant, du prescripteur, de l'établissement
Pour chacun : catégorie, spécialité, nature d'exercice, année de naissance, sexe, ancienneté, secteur conventionnel, commune d'exercice, CPAM de rattachement

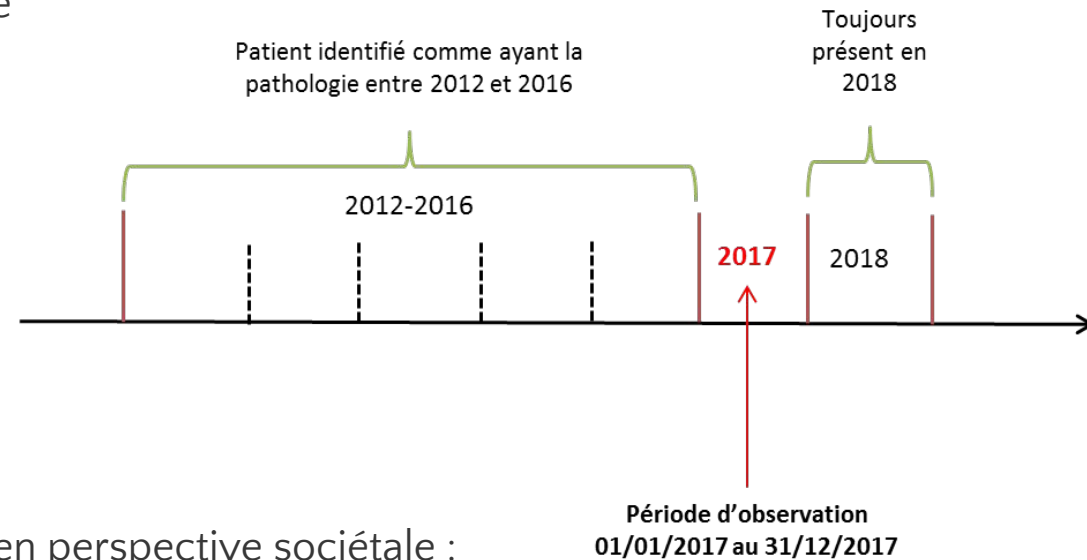
Traitements dispensés en ville ou en rétrocession hospitalière ou en sus GHS seulement

Dispositifs :

Code LPP
Lignes génériques

Méthode d'estimation des coûts

- Etude observationnelle, rétrospective et comparative (cas-témoin)
- Coût annuel de la maladie évalué en PREVALENCE (pas de cas incidents) sur une année complète de consommation de soins (2017) Exclusion des patients décédés en cours d'année



- Valorisation en perspective sociétale :
 - ✓ Coûts associés aux soins ambulatoires : directement issus des données de remboursement du SNDS et correspondent aux montants présentés au remboursement en date de soins
 - ✓ Coût de l'hospitalisation publique et privée MCO : estimé à partir du Référentiel National de coûts hospitaliers de chaque année

Identification des cas et des témoins

- Cas : Existence d'une hospitalisation avec un code principal, relié ou associé CIM10 F 84.2 OU existence d'un code CIM10 F 84.2 dans la table médicalisée des motifs d'ALD ou d'invalidité dans les 5 ans précédant l'année de l'analyse
- Témoins : 3 témoins tirés au sort pour chaque cas
 - ✓ Témoins respectant les mêmes critères d'inclusion mais n'étant pas atteints de la pathologie étudiée
 - ✓ Pour chaque pathologie, le groupe témoin a été apparié selon les variables suivantes : année de naissance, sexe, département de résidence

Résultats

Syndrome de RETT

Population de l'étude

Syndrome de RETT

Existence d'une hospitalisation avec un code principal, relié ou associé CIM10 F 84.2 OU existence d'un code CIM10 F 84.2 dans la table médicalisée des motifs d'ALD ou d'invalidité entre 2012 et 2016

N= 882

79 patients décédés entre 2012 et la fin 2017

Patients vivants au
01/01/2018

N=803

109 patients considérés comme perdus de vue

Patients non perdus de
vue au 01/01/2018

N=694

0 grossesse au cours de l'année 2017

Respect des
critères d'inclusion

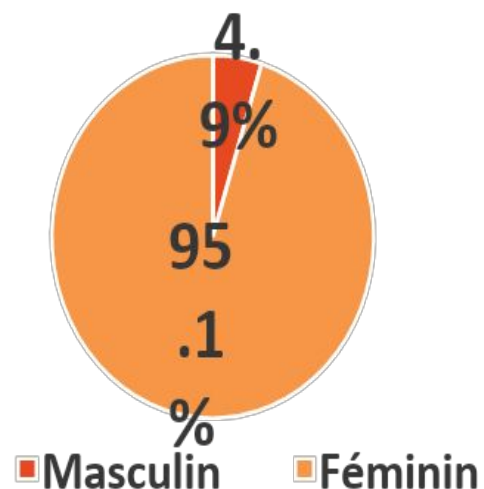
N=694

Pour bénéficier d'une année complète de soins (2017). Les patients perdus de vue sont des patients n'ayant aucune consommation de soins identifiable en 2018

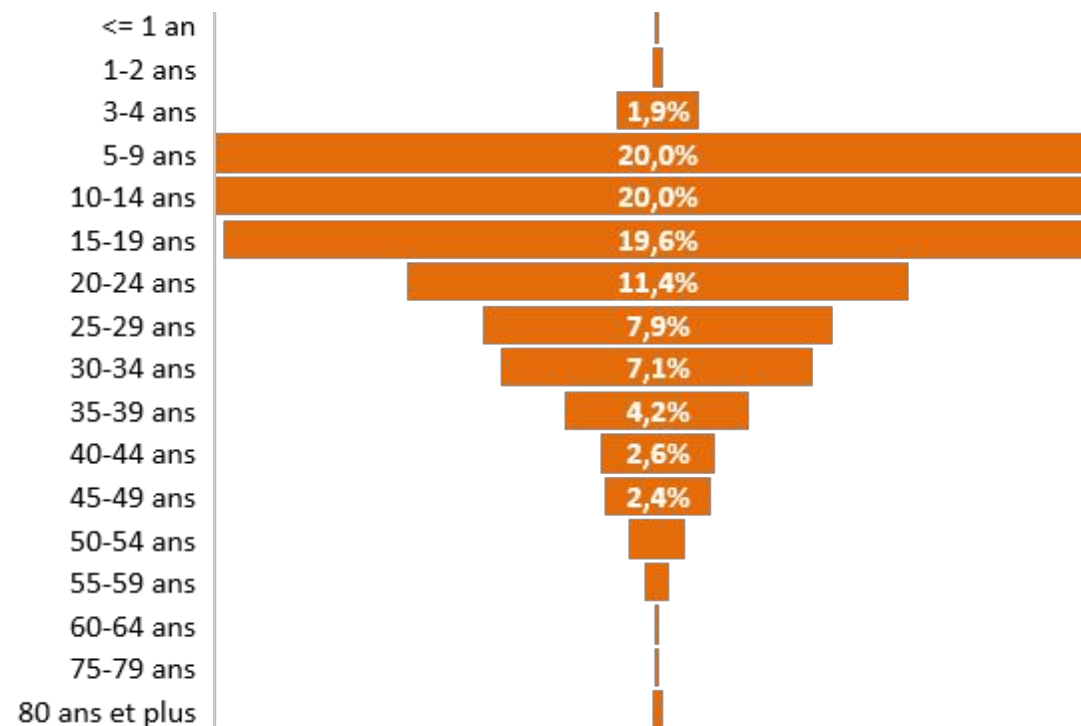
Les grossesses entraînent une hausse de la consommation de soins non liée à la pathologie

Caractéristiques des patients (N=694)

Répartition par sexe



Répartition par âge



- Patients répartis sur l'ensemble du territoire
- 91,8% pris en charge dans le cadre d'une ALD (Rett ou autre motif)

Age moyen : 19,3 ans (ET : 12,3)

Médiane: 16 ans (de 1 à 91 ans)

Prise en charge dans le centre de référence

- Hôpital universitaire **Necker-Enfants malades** labellisé centre de référence constitutif coordinateur en 2017 :
 - 21,6% des patients identifiés qui ont été hospitalisés ou vus en consultation externe entre 2015 et 2017
 - 33,9% des moins de 10 ans

	<=10 ans	10-20 ans	>20 ans	Total	p-value
Population étudiée	180	269	245	694	
Passage au centre de référence (hospitalisation et/ou cons. externes)(Necker) entre 2015 et 2017					<0,0001
Non	119 (66,1%)	190 (70,6%)	235 (95,9%)	544 (78,4%)	
Oui	61 (33,9%)	79 (29,4%)	10 (4,1%)	150 (21,6%)	

Consommation de soins ambulatoires en 2017 selon l'âge des patients

Consommation de soins ambulatoires en 2017 par âge (% avec au moins une consultation en 2017)

	<=10 ans	10-20 ans	>20 ans	Total	p-value
Population étudiée	180	269	245	694	
Médecin généraliste et spécialistes* :					
Médecin hospitalier	136 (75,6%)	194 (72,1%)	106 (43,3%)	436 (62,8%)	<0,0001
Médecin généraliste	89 (49,4%)	127 (47,2%)	104 (42,4%)	320 (46,1%)	NS
Ophtalmologiste	48 (26,7%)	36 (13,4%)	20 (8,2%)	104 (15,0%)	<0,0001
Pédiatre	42 (23,3%)	24 (8,9%)	3 (1,2%)	69 (9,9%)	<0,0001
Neurologue	3 (1,7%)	6 (2,2%)	25 (10,2%)	34 (4,9%)	<0,0001
ORL	8 (4,4%)	7 (2,6%)	9 (3,7%)	24 (3,5%)	NS
Orthopédiste	2 (1,1%)	5 (1,9%)	8 (3,3%)	15 (2,2%)	NS
Pneumologue	1 (0,6%)	4 (1,5%)	6 (2,4%)	11 (1,6%)	NS
Gastro-entérologue	- -	3 (1,1%)	6 (2,4%)	9 (1,3%)	NS
Autres spécialistes de ville	81 (45,0%)	113 (42,0%)	93 (38,0%)	287 (41,4%)	NS

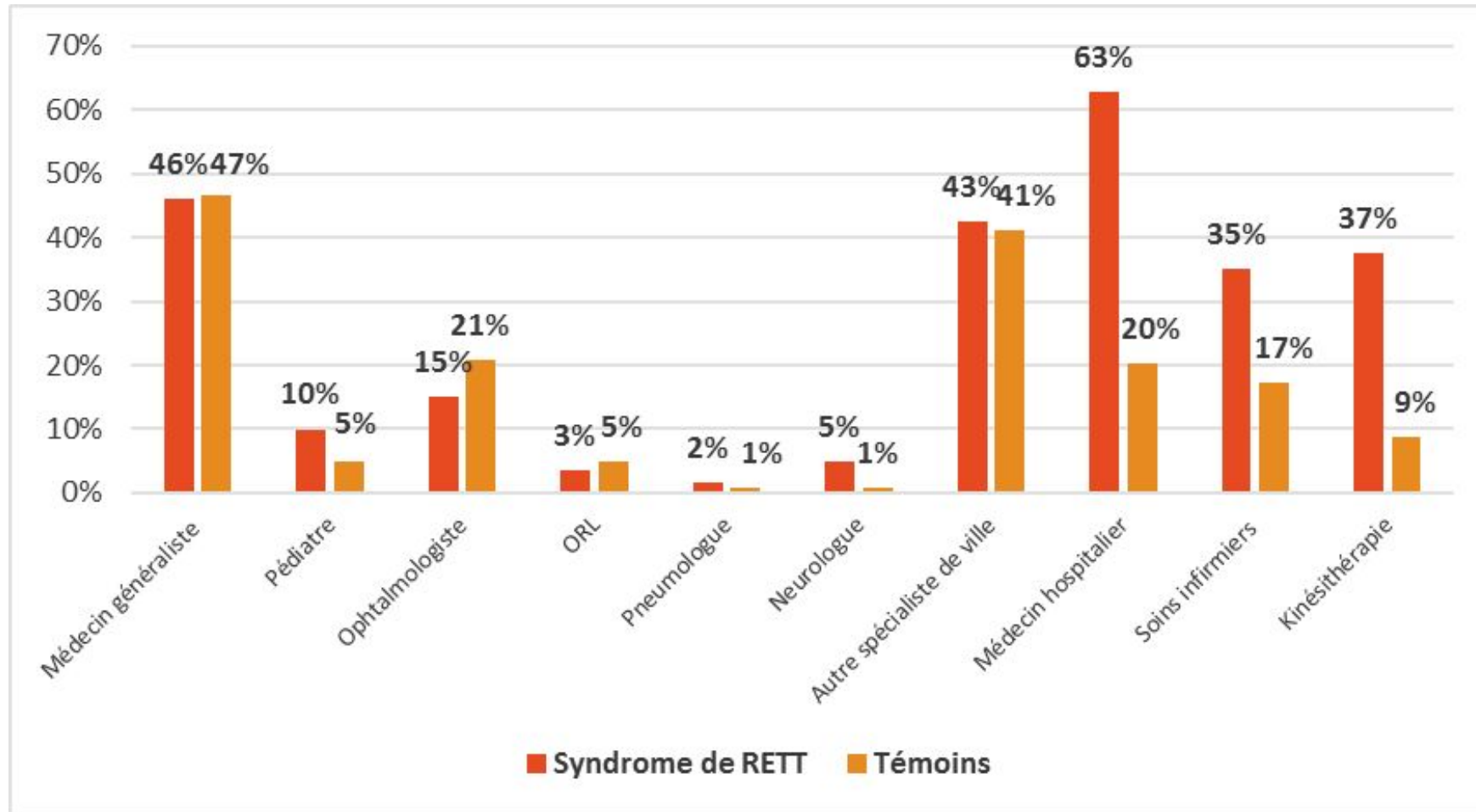
- En ville ou consultations externes des hôpitaux

Consommation de soins ambulatoires en 2017 selon l'âge des patients

Consommation d'auxiliaires médicaux en 2017 par âge (% avec au moins un recours en 2017)

	<=10 ans	10-20 ans	>20 ans	Total	p-value
Population étudiée	180	269	245	694	
Soins infirmiers	55 (30,6%)	103 (38,3%)	86 (35,1%)	244 (35,2%)	NS
Kinésithérapie	84 (46,7%)	105 (39,0%)	71 (29,0%)	260 (37,5%)	0,0008

Consommation de soins ambulatoires en 2017 (recours comparés aux témoins)



Hospitalisations en 2017

Parmi les patients atteints du syndrome de Rett :

- **45,2%** ont été hospitalisés (tous types d'hospitalisation) au moins 1 fois en 2017
- **29,3%** ont été hospitalisés en HDJ
 - 2,4 séances en moyenne sur l'année
- **29,3%** ont été hospitalisés en hospitalisation complète (HC)
 - 2,8 séjours en moyenne
 - durée cumulée moyenne de 13,8 jours
- **6,9%** ont été hospitalisés en SSR

Hospitalisations en 2017

- Hospitalisations beaucoup plus fréquentes que chez les témoins

	Syndrome de RETT	Témoins	p-value
Population étudiée	694	2 072	
<u>Hospitalisations en MCO :</u>			
Au moins un séjour en 2017 (HDJ ou HC)	45,2%	8,8%	<0,0001
<u>HDJ</u>			
<i>Au moins une séance en 2017 (%)</i>	29,3%	4,5%	<0,0001
<i>Nombre de séances en 2017 – Moyenne (ET)</i>	2,4 (2,7)	1,4 (1,4)	<0,0001
<u>Hospitalisations complètes :</u>			
<i>Au moins un séjour en 2017 (%)</i>	29,3%	4,9%	<0,0001
<i>Nombre de séjours en 2017 - Moyenne (ET)</i>	2,8 (2,4)	1,4 (0,9)	<0,0001
<i>Durée cumulée des séjours (en jours) - Moyenne (ET)</i>	13,8 (20,5)	4,7 (5,1)	<0,0001
Hospitalisations en SSR (en hospitalisation complète) :			
Au moins un séjour en 2017 (%)	6,9%	0,2%	<0,0001

Coûts des Soins ambulatoires tous motifs

		Syndrome de RETT	Témoins	p-value
Population étudiée		694	2 072	
Soins de ville : dépense totale (€)	Moyenne (écart-type) Médiane / Min / Max	7 830,5 (9 234,0) 4 583,9 / 0,0 / 81 357,1	625,9 (1 020,8) 300,6 / 0,0 / 15 979,1	<0,0001
Détail des soins de ville :				
Honoraires médicaux	Moyenne (écart-type) Médiane / Min / Max	297,9 (313,6) 215,8 / 0,0 / 3 364,4	200,1 (358,9) 83,5 / 0,0 / 4 770,3	<0,0001
Auxiliaires médicaux	Moyenne (écart-type) Médiane / Min / Max	912,4 (2 335,8) 22,1 / 0,0 / 21 399,4	64,7 (231,6) 0,0 / 0,0 / 3 394,0	<0,0001
Pharmacie et produits dérivés	Moyenne (écart-type) Médiane / Min / Max	914,7 (2 154,1) 411,2 / 0,0 / 31 740,8	106,5 (576,7) 24,3 / 0,0 / 14 877,1	<0,0001
Matériel médical	Moyenne (écart-type) Médiane / Min / Max	4 335,7 (5 355,8) 2 091,1 / 0,0 / 32 202,8	96,9 (329,5) 0,0 / 0,0 / 6 942,2	<0,0001
Transports	Moyenne (écart-type) Médiane / Min / Max	1 025,5 (4 089,4) 0,0 / 0,0 / 58 896,2	10,7 (144,8) 0,0 / 0,0 / 3 598,2	<0,0001
Honoraires dentaires	Moyenne (écart-type) Médiane / Min / Max	20,6 (114,0) 0,0 / 0,0 / 1 615,8	93,8 (279,8) 0,0 / 0,0 / 2 375,0	<0,0001
Biologie	Moyenne (écart-type) Médiane / Min / Max	68,5 (128,7) 15,1 / 0,0 / 1 905,0	48,3 (119,7) 0,0 / 0,0 / 1 260,1	<0,0001

Coût des Hospitalisations tous motifs

- **Grande variabilité** selon les patients (médiane 0 € □ la moitié des patients sans coût lié à des hospitalisations)
- Des coûts maximum **très élevés** (quelques patients)

	Syndrome de RETT	Témoins	p-value
Population étudiée	694	2 072	
<u>MCO</u> : Coût (€) des hospitalisations			
Moyenne (écart-type)	3 431,6 (8 387,8)	234,5 (1 194,3)	<0,0001
Médiane / Min / Max	0,0 / 0,0 / 79 177,7	0,0 / 0,0 / 20 981,7	
<u>SSR</u> : Coût (€) des hospitalisations			
Moyenne (écart-type)	1 962,7 (31 789,6)	0,7 (15,8)	<0,0001
Médiane / Min / Max	0,0 / 0,0 / 809 540,1	0,0 / 0,0 / 371,1	

Coût du Syndrôme de RETT

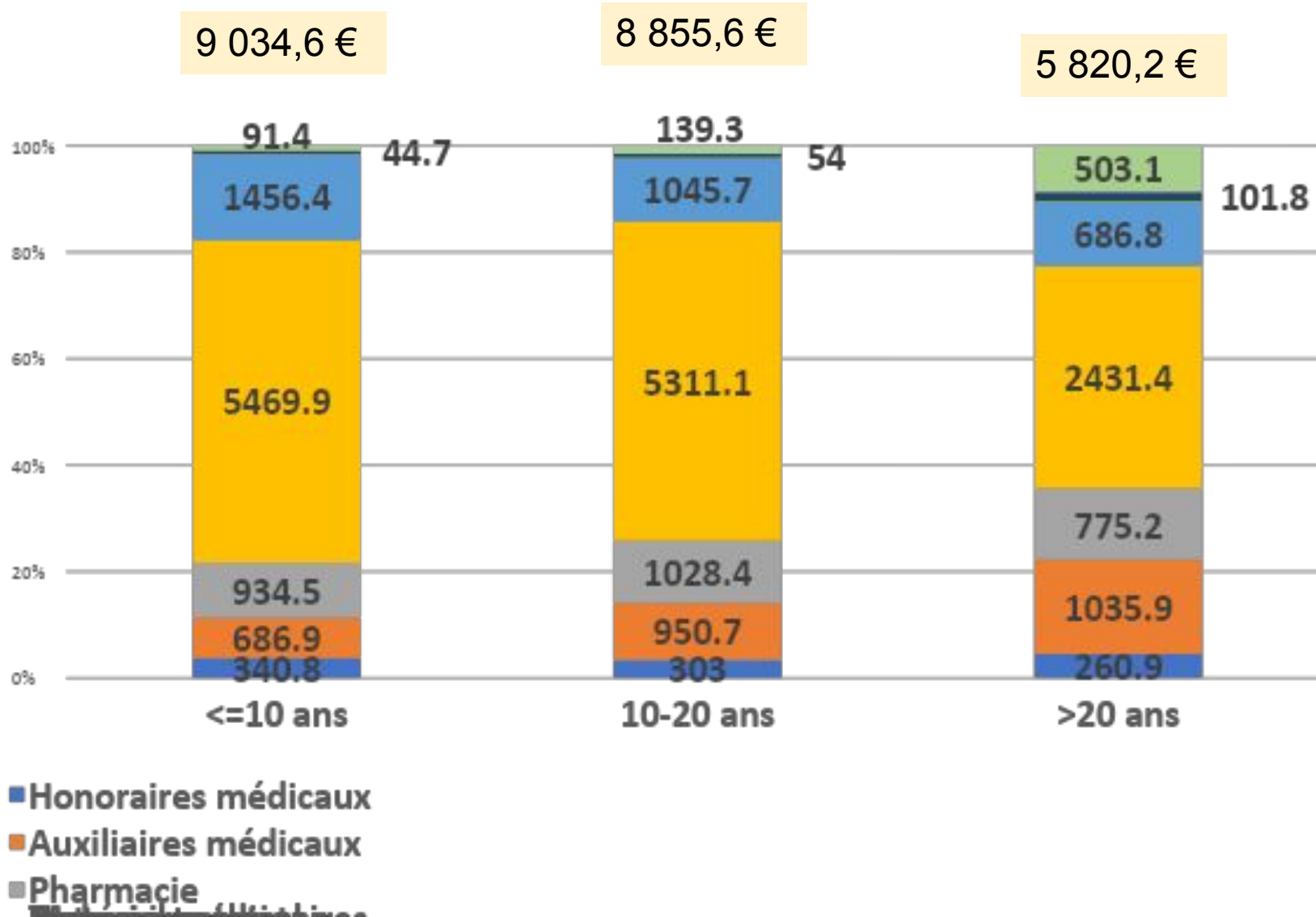
	Syndrome de RETT	Témoins	Coût de la maladie	%
N Population étudiée	694	2 072		
Soins de ville : dépense totale (€)	7 830,50 €	625,90 €	7 204,60 €	58,3%
<u>Détail des soins de ville:</u>				
Honoraires médicaux	297,90 €	200,10 €	97,80 €	0,8%
Auxiliaires médicaux	912,40 €	64,70 €	847,70 €	6,9%
Pharmacie et produits dérivés	914,70 €	106,50 €	808,20 €	6,5%
Matériel médical	4 335,70 €	96,90 €	4 238,80 €	34,3%
Transports	1 025,50 €	10,70 €	1 014,80 €	8,2%
Honoraires dentaires	20,60 €	93,80 €	- 73,20 €	-0,6%
Biologie	68,50 €	48,30 €	20,20 €	0,2%
<u>Détail des hospitalisations :</u>				
MCO	3 431,60 €	234,50 €	3 197,10 €	25,9%
SSR	1 962,70 €	0,70 €	1 962,00 €	15,9%
<u>Coût total</u>				
Montant total	13 224,80 €	861,10 €	12 363,70 €	

Ensemble des coûts tous motifs en 2017 –selon l'âge des patients

- Des dépenses qui diminuent avec l'âge des patients

	<=10 ans	10-20 ans	>20 ans	Total	p-value
Population étudiée	180	269	245	694 (100%)	
Dépenses totales (€)					<0,0001
Moyenne (écart-type)	14 580,9 (22 919,0)	14 448,6 (17 844,6)	10 884,7 (53 738,3)	13 224,8 (35 757,4)	
Médiane	8 153,5	8 143,3	3 716,0	6 516,7	
Soins de ville : dépense totale (€)					<0,0001
Moyenne (écart-type)	9 034,6 (8 184,4)	8 855,6 (9 795,5)	5 820,2 (9 019,8)	7 830,5 (9 234,0)	
Médiane	7 074,3	5 689,3	2 952,0	4 583,9	
MCO-Coût (€) des hospitalisations					<0,0001
Moyenne (écart-type)	4 002,1 (8 541,5)	4 824,7 (10 519,8)	1 483,0 (4 307,6)	3 431,6 (8 387,8)	
Médiane	545,5	736,8	0,0	0,0	
SSR-Coût (€) des hospitalisations					0,0021
Moyenne (écart-type)	1 544,2 (15 352,0)	768,3 (3 577,7)	3 581,5 (51 758,3)	1 962,7 (31 789,6)	
Médiane	0,0	0,0	0,0	0,0	

Répartition des coûts des soins ambulatoires tous motifs selon l'âge



Avec l'âge :

- Diminution de la dépense globale
- Diminution des dépenses liées au matériel médical
- Augmentation des dépenses d'auxiliaires médicaux et honoraires dentaires

Discussion

Discussion

- Méthodologie exploratoire (faisabilité)
- Des difficultés d'identification des pathologies dans les bases du SNDS (codage des séjours via la classification CIM 10 □ faux positifs)
- Un coût de la maladie qui inscrit le Syndrôme de Rett dans le cadre des maladies chroniques avec traitement spécifique (exemple : Diabète traité par insuline)
- Un coût du Syndrome de Rett hors patients décédés d'environ 10 Millions d'€ (0,005% de la CSBM)
- Les dépenses non présentées au remboursement (et donc certains restes à charge) ne sont pas pris en compte mais seront étudiées dans le second volet de l'étude (enquête)