

Prise en charge de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne en France entre 2018 et 2022

Résultats de l'étude Hogan

F. Sicre De Fontbrune¹ ; H. Denis² ; A. Brouquet³ ; M. Aroichane⁴ ; M. Trancart⁴ ; D. Beziz⁴ ; V. Alcazer⁵

1. Service d'hématologie greffe, Hôpital Saint-Louis (AP-HP), Paris ; 2. Gestion de projet, Heva, Lyon ; 3. Biostatistique, Heva, Lyon ; 4. Oncology, Novartis Pharma, Rueil-Malmaison ; 5. Hématologie, Hospices Civils de Lyon - HC L, Lyon

CONCLUSION

Cette étude basée sur des données de vie réelle a identifié 531 patients HPN recevant un anti-C5 sur la période 2018-2022 en France, dont 124 (23 %) - principalement des femmes - étaient des mauvais répondeurs anti-C5. Ces données sont similaires à celles de Kelly *et al.*, qui identifie 27% de patients traités par anti-C5 nécessitant au moins une transfusion au cours de la dernière année de suivi.

Les mauvais répondeurs ont eu plus souvent recours aux transfusions avant la date index et l'initiation d'anti-C5 ; près du tiers avaient un antécédent d'aplasie médullaire

La mauvaise réponse était identifiée dans la 1^{ère} année suivant l'initiation d'anti-C5 dans 54 % des cas. Les mauvais répondeurs nécessitaient des transfusions récurrentes et ce de manière précoce (98 % des patients ont été transfusés au cours de l'année suivant la mauvaise réponse).

INTRODUCTION

L'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) est une maladie clonale acquise des cellules souches hématopoïétiques caractérisée par une anémie hémolytique corpusculaire, une insuffisance médullaire et un surrisque thrombotique.

L'arrivée des inhibiteurs du C5 (anti-C5) sur le marché a considérablement amélioré la survie globale et la qualité de vie des patients.

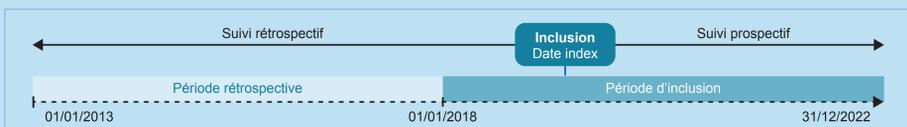
Cette étude a pour objectif de décrire l'épidémiologie et la prise en charge hospitalière des patients atteints d'HPN en France, et la population de mauvais répondeurs aux anti-C5.

MÉTHODE

Source de données

Cette étude est basée sur les données de remboursement à l'hôpital disponibles dans le Programme de Médicalisation des Systèmes d'Information (PMSI).

Période d'étude



La date index La date index est la date de la 1^{ère} hospitalisation pour HPN ou la date de la 1^{ère} dispensation d'anti-C5 au cours de la période d'inclusion.

La période rétrospective est utilisée pour la recherche des antécédents médicaux et la confirmation du statut incident des patients atteints d'HPN.

La fin du suivi correspond à la date de décès du patient ou de fin d'étude.

Population d'étude

Cohorte totale HPN Tous les patients présentant au moins une hospitalisation pour HPN (hospitalisation complète ou partielle) au cours de la période d'inclusion (2018-2022) seront inclus dans cette étude.

L'HPN sera identifiée grâce au code CIM-10 D595 codé comme DP, DR ou DAS.

Définition des sous-groupes d'intérêt

Patients exposés anti-C5 Patients ayant eu au moins une délivrance d'anti-C5 sur la période d'extraction

Mauvais répondeurs Patients exposés à un anti-C5 et ayant eu soit un switch vers un anti-C3 (hors essais cliniques), soit une intensification du nombre de transfusions : au moins 2 transfusions consécutives pour HPN sur une période d'un an à partir de 6 mois après l'initiation de l'anti-C5.

Date d'entrée dans le groupe*

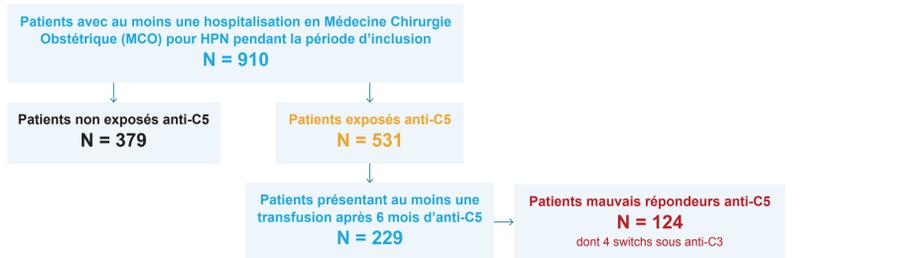
Cohorte totale HPN Date index

Patients exposés anti-C5 1^{ère} dispensation d'anti-C5

Mauvais répondeurs 1^{ère} caractérisation du patient à l'état de « mauvais répondeur anti-C5 »

RÉSULTATS

Population d'étude



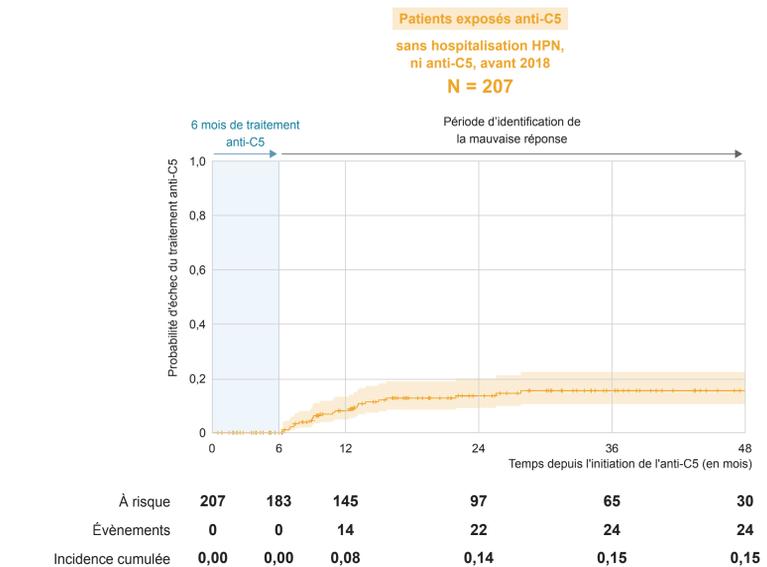
Caractéristiques des patients

	Cohorte totale HPN	Patients exposés anti-C5	Mauvais répondeurs
Nombre de patients	N = 910	N = 531	N = 124
Femme	51,4 % N=468	52,2 % N=277	64,5 % N=80
Âge à l'entrée dans le sous-groupe*			
moyenne (± ET)	52,3 ans (± 21,1)	45,7 ans (± 18,1)	49,0 ans (± 18,9)
médiane (Q1-Q3)	53,0 ans (34,0 ; 70,0)	44,0 ans (30,0 ; 61,0)	51,5 ans (31,0 ; 66,0)
Proportion de patients avec au moins une transfusion durant l'année avant la date index	28,0 % N=255	27,9 % N=148	58,1 % N=72
Durée moyenne de suivi depuis la date index (± ET)	69,2 mois (± 41,5)	69,2 mois (± 41,5)	86,9 mois (± 36,3)
depuis l'initiation d'anti-C5 (± ET)	37,1 mois (± 21,4)	45,4 mois (± 18,8)	50,5 mois (± 15,1)
Patients pris en charge dans un centre expert depuis la date index	23,9 % N=217	31,1 % N=165	39,5 % N=49

Présence de comorbidités d'intérêt à la date index

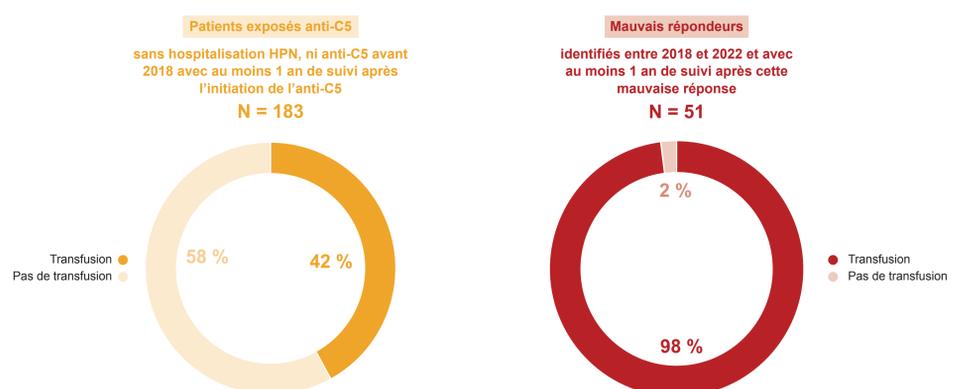
	Cohorte totale HPN	Patients exposés anti-C5	Mauvais répondeurs
Nombre de patients	N = 910	N = 531	N = 124
Maladies du foie (hors hépatite virale ou maladie alcoolique)	7,6 % N=69	7,5 % N=40	10,5 % N=13
Maladies rénales	13,7 % N=125	14,5 % N=77	19,4 % N=24
Thromboses	6,8 % N=62	8,5 % N=45	11,3 % N=14
Infections	14,4 % N=131	12,8 % N=68	14,5 % N=18
Antécédents d'aplasie médullaire	29,0 % N=264	29,8 % N=158	33,9 % N=42

Temps jusqu'à échec de traitement anti-C5



13 % des patients deviennent mauvais répondeurs anti-C5, 24 mois après l'initiation d'anti-C5.

Transfusion dans l'année*



* le mécanisme exacte de l'anémie justifiant les transfusions (hémolyse extravasculaire, aplasie, infections, autre) ne peut être identifié avec certitude dans cette étude

Liens d'intérêt

H. Denis et A. Brouquet sont des employés de Heva, société financée par Novartis pour la conduite de cette étude.

Dr Flore Sicre de Fontbrune : Samsung : Honoraria, Research Funding ; Sobi : Honoraria, Research Funding ; Novartis : Honoraria, Research Funding ; Jazz Pharma : Honoraria ; Alexion, AstraZeneca Rare Disease : Honoraria, Research Funding ; Pfizer : Consultancy, Honoraria, Membership on an entity's Board of Directors or advisory committees.

Dr Vincent Alcazer : Ervaccine Technologies : consultant ; SOBI : Financement congrès/conférences, consultant ; Alexion : consultant ; GILEAD : Financement congrès ; Novartis : Financement congrès, consultant ; Jazz Pharma : conférence rémunérée.

M. Aroichane, M. Trancart, D. Beziz sont des employés de Novartis, société finançant cette étude.

Sources de données

Bases PMSI fournies par l'ATIH ; Responsable de Traitement : Novartis ; Responsable Mise en Œuvre de Traitement : Heva ; Étude enregistrée sous MR006 auprès du Health Data Hub le 08/09/2023 sous le numéro N° F20230908142017

Références

1. Kelly *et al.* Treatment Outcomes of Complement Protein C5 Inhibition in 509 UK Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, American Society of Hematology, BLD-2023-021762R2