

## Résumé des Résultats

Etude IMPALA : Dynamique et évolution des thérapies utilisées pour traiter l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) entre 2020 et 2023.

### Dossier

21182844

### Responsable de traitement

NOVARTIS Pharma SAS  
8-10 rue Henri Sainte-Claire Deville  
92500 Rueil Malmaison, France

### Responsable de la mise en œuvre

HEVA  
45 Boulevard Paul Vaillant Couturier  
94200 Ivry sur seine, France

### Domaine Médical

Hématologie

### Rappels des objectifs de la Recherche

- Objectif principal :
  - Décrire la dynamique et l'évolution des différents traitements médicamenteux utilisés pour la prise en charge de l'HPN en France entre 2020 et 2023.
- Objectif secondaire :
  - Décrire les caractéristiques des patients

### Méthodologie

Etude de cohorte observationnelle rétrospective basée sur les données du PMSI (Programme de médicalisation des systèmes d'information).

Cette étude de réutilisation secondaire de données existantes avec comme source unique le PMSI a été conduite conformément à la Méthodologie de référence MR-006 publiée par la CNIL pour laquelle Novartis Pharma SAS a pris un engagement de conformité.

Cette étude a fait l'objet d'une déclaration préalable à sa mise en œuvre sur le site du Health Data Hub.

Une information collective a été mise en place sur le site de Novartis.

### Définition

Les patients traités par anti-C5 : L'ensemble des patients traités par un agent anti-C5 au cours de la période d'étude

Date index : Première date d'administration d'un traitement de l'HPN

Les patients « faibles répondeurs » : Patients exposés aux anti-C5 identifiés comme ayant échoué au traitement par anti-C5 (Au moins 2 transfusions consécutives sur une période d'un an débutant 6 mois après l'initiation du traitement par anti-C5)

## Population étudiée

La population d'étude se composait de patients répondant aux critères d'inclusion suivants :

- Tous les patients ayant eu au moins une dispensation de l'un des médicaments suivants pendant la période d'étude (2020–2023) :
  - Éculizumab, Ravulizumab, Iptacopan, Pegcetacoplan
- ET Ayant au moins une hospitalisation avec un diagnostic d'HPN dans leurs antécédents médicaux ou durant la période d'extraction (2015–2023)

## Périodes

### Période d'inclusion

Les patients ont été inclus du 1er janvier 2020 au 31 décembre 2023.

### Période de suivi

Les patients ont été suivis depuis la date index jusqu'au 31 décembre 2023 (fin de la période d'étude), ou jusqu'au décès si celui-ci survenait en premier.

### Période d'extraction des données

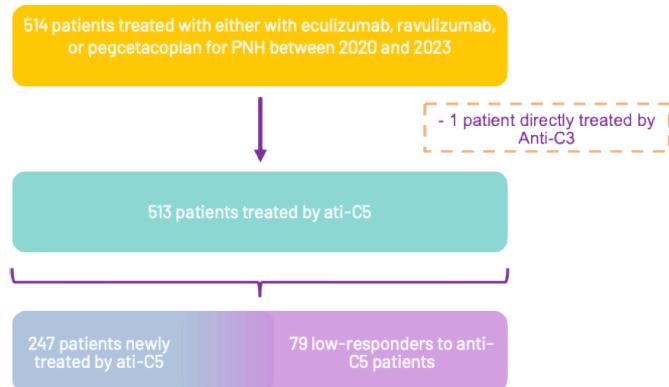
Une période rétrospective a été appliquée depuis la date index jusqu'au 1er janvier 2018, afin de capturer les traitements antérieurs. Chaque patient disposait donc d'une période rétrospective de 2 ans.

Les données ont été collectées du 1er janvier 2018 au 31 décembre 2023.



## Principaux résultats

Au total, 514 patients traités par eculizumab, ravulizumab ou pegcetacoplan pour une HPN entre 2020 et 2023 en France ont été identifiés dans la base PMSI. Tous, sauf un patient, ont reçu un anti-C5 (N=513). Parmi eux, 48 % des patients (N=247) étaient nouvellement traités par anti-C5 entre 2020 et 2023 et 15 % (N=79) étaient considérés comme de faibles répondeurs.



Cette étude montre que les patients sont globalement répartis de façon assez équilibrée entre hommes et femmes, à l'exception des faibles répondeurs, parmi lesquels les femmes sont plus représentées que les hommes.

L'âge médian (Q1 ; Q3) était de 47 (34 ; 64) ans pour l'ensemble de la cohorte.

Les patients nouvellement traités par anti-C5 avaient tendance à être plus jeunes (âge médian (Q1 ; Q3) de 44 (30 ; 61)), tandis que les faibles répondeurs étaient plus âgés (âge médian (Q1 ; Q3) de 54 (34 ; 71)).

L'eculizumab représentait 100 % des traitements prescrits à l'inclusion en 2020 et 2021 (seul anti-C5 disponible à cette période), pour tomber à 44,2 % en 2022 et 16,2 % en 2023.

À l'inverse, en 2022, 55,8 % des patients étaient traités par ravulizumab à l'inclusion, et ce chiffre a augmenté à 82,4 % en 2023. L'arrivée sur le marché du ravulizumab a ainsi entraîné un changement des pratiques de traitement de l'HPN en France.

Parmi les 514 patients traités pour une HPN entre 2020 et 2023, 80 % ont reçu l'eculizumab en première ligne et 20 % le ravulizumab (et 1 patient le pegcetacoplan). Parmi ces 514 patients, 52 % ont initié un traitement par eculizumab puis sont passés au ravulizumab au cours de la période d'étude, tandis que 3 % de l'ensemble de la cohorte sont passés au pegcetacoplan après l'eculizumab.

Parmi les 247 patients nouvellement traités par anti-C5 entre 2020 et 2023, 58 % ont initié un traitement par eculizumab, tandis que 42 % l'ont initié par ravulizumab. Environ un tiers (32 %) des 247 patients nouvellement traités ont d'abord reçu l'eculizumab puis sont passés au ravulizumab.

## Conclusion

En conclusion, cette étude fournit des données de vie réelle actualisées sur les traitements reçus par les patients atteints d'HPN et leur évolution depuis 2020. L'arrivée de plusieurs options thérapeutiques sur le marché a fortement impacté la prise en charge thérapeutique de ces patients en France.

## Utilisation des Résultats

Discussions et réunions avec les autorités et comités compétents (Haute Autorité de Santé, Comité Economique des Produits de Santé (CEPS)).