

ÉTUDE DU COÛT DU TRAITEMENT DE LA FIBROSE KYSTIQUE DANS LES HÔPITAUX DE DIVERSES COMMUNAUTÉS AUTONOMES DANS LE CADRE D'UN PROJET DE RECHERCHE EN COOPÉRATION

Bel E*, Alsina C, Bonet F**, Salinas C**,
Mas A***, Hidalgo E***, Dobrito A*****



Base légale

- Constitution espagnole de 1978
 - L'article 148.17 établit que la recherche est une compétence à assumer par toutes les Communautés autonomes.
- Règlement 141/2000 (CE), de régulation des médicaments orphelins dans l'Union européenne.

Institut de Santé Carlos III

- Réseau thématique de recherche en coopération appelé **Réseau épidémiologique pour la Recherche des Maladies rares (REpIER)**.
- **GITER (Groupe de recherche thérapeutique dans les maladies rares)** coordonné par le Département de Pharmacie et de Technologie pharmaceutique de l'Université de Barcelone.



Qu'est-ce que la fibrose kystique ?

- La fibrose kystique est une maladie autosomique récessive des glandes sudoripares et exocrines du corps dans laquelle celles-ci produisent une mucosité épaisse qui affecte principalement :
 - le système respiratoire, ce qui prédispose le malade aux infections pulmonaires chroniques ;
 - Le système digestif : les enzymes pancréatiques ne sont plus secrétées de manière adéquate, ce qui cause une mauvaise absorption et entraîne la dénutrition.
- En Espagne, il y a entre 2 500 et 3 000 personnes affectées et l'on estime l'incidence à 1 pour 5 352 enfants nés à terme.

Traitement

- Il n'y a actuellement aucun traitement curatif pour la fibrose kystique. L'attention de ces patients est destinée à éviter les complications et à améliorer leur qualité de vie.
- La thérapie actuelle est basée sur les quatre points suivants :
 - Prévention et traitement des processus pulmonaires. Agir énergiquement à l'aide d'antibiotiques quand apparaît la première colonisation de *pseudomonas aeruginosa* ;
 - Amélioration de la nutrition ;
 - Physiothérapie respiratoire avec des mesures posturales afin de faciliter le drainage des sécrétions ;
 - Soutien psychologique et social.



Objectifs

- Étude et analyse du coût moyen du traitement par patient et par tranche d'âge.
- Étude du coût bisannuel par groupes de médicaments utilisés dans le traitement de la fibrose kystique.
- Détermination du coût que représente l'utilisation de médicaments appelés orphelins pour la fibrose kystique par rapport au coût total de la médication reçue par le patient.

Méthodologie (I)

- Élaboration de questionnaires permettant de recueillir les renseignements épidémiologiques (âge, sexe et provenance géographique), médication consommée par chaque malade et coût de celle-ci.
- Trois hôpitaux qui sont des centres de référence pour le traitement de cette maladie ont participé à l'étude. Il s'agit de deux hôpitaux en Catalogne et d'un aux Îles Canaries.

Méthodologie (II)

- L'information a été recueillie au travers des registres de délivrance de médicaments qui se trouvent dans les services de pharmacie des hôpitaux ainsi que dans les dossiers médicaux des malades.
- Il a été fait une étude rétrospective sur deux années, plus précisément on a inclus les malades diagnostiqués de la maladie et soumis à traitement en 2002 et 2003.
- L'étude est centrée sur le coût direct du traitement, et il est exprimé en coût des médicaments dans les services de pharmacie.

Résultats et discussion

Échantillon analysé

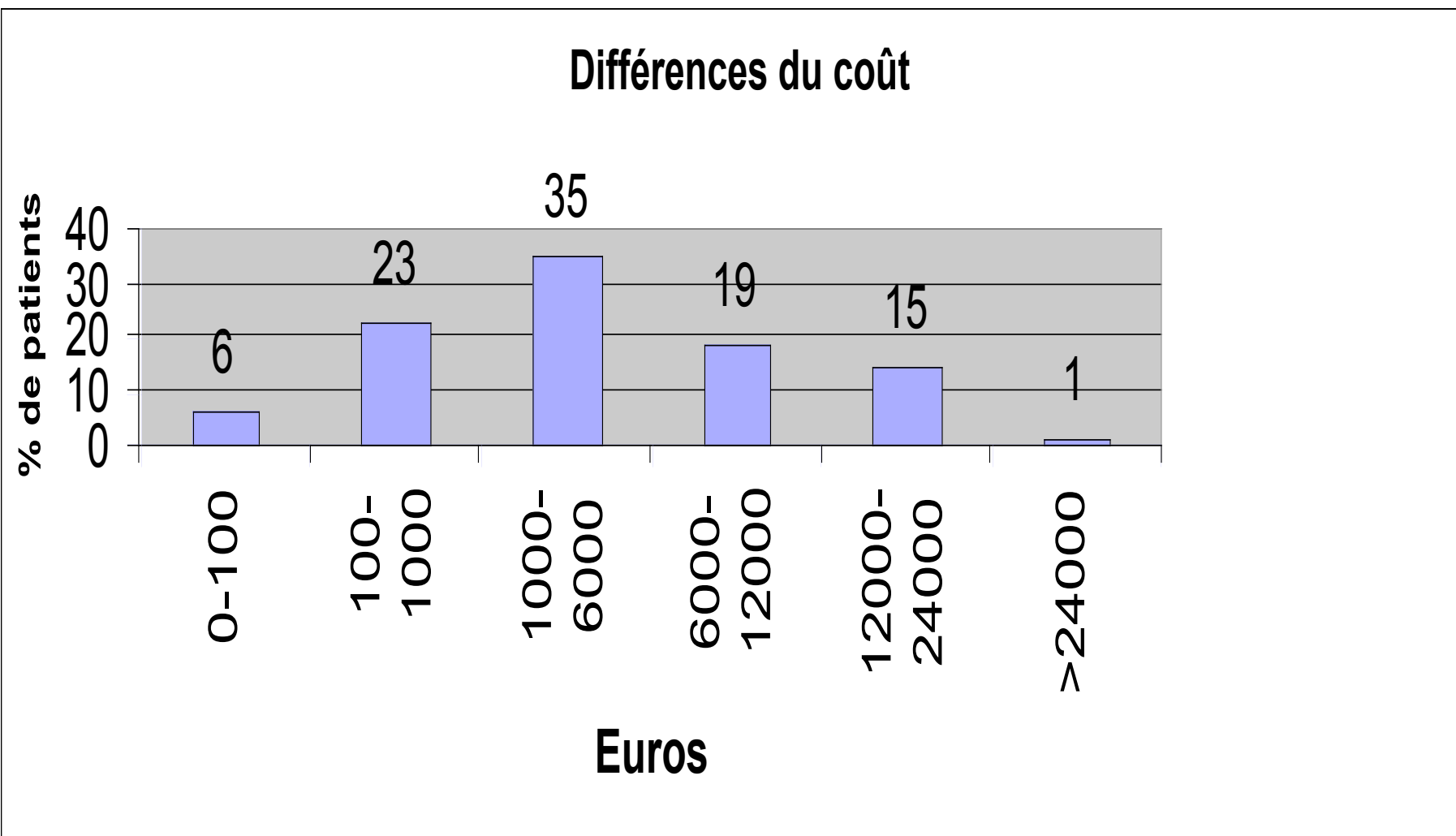
- Total de patients traités dans les hôpitaux : 314
- Patients éliminés : 42
- Échantillon final : 272
 - Communauté catalane : 250
 - Communauté des Îles Canaries : 22

Résultats et discussion

1. Étude et analyse du coût moyen du traitement par patient et par tranche d'âge

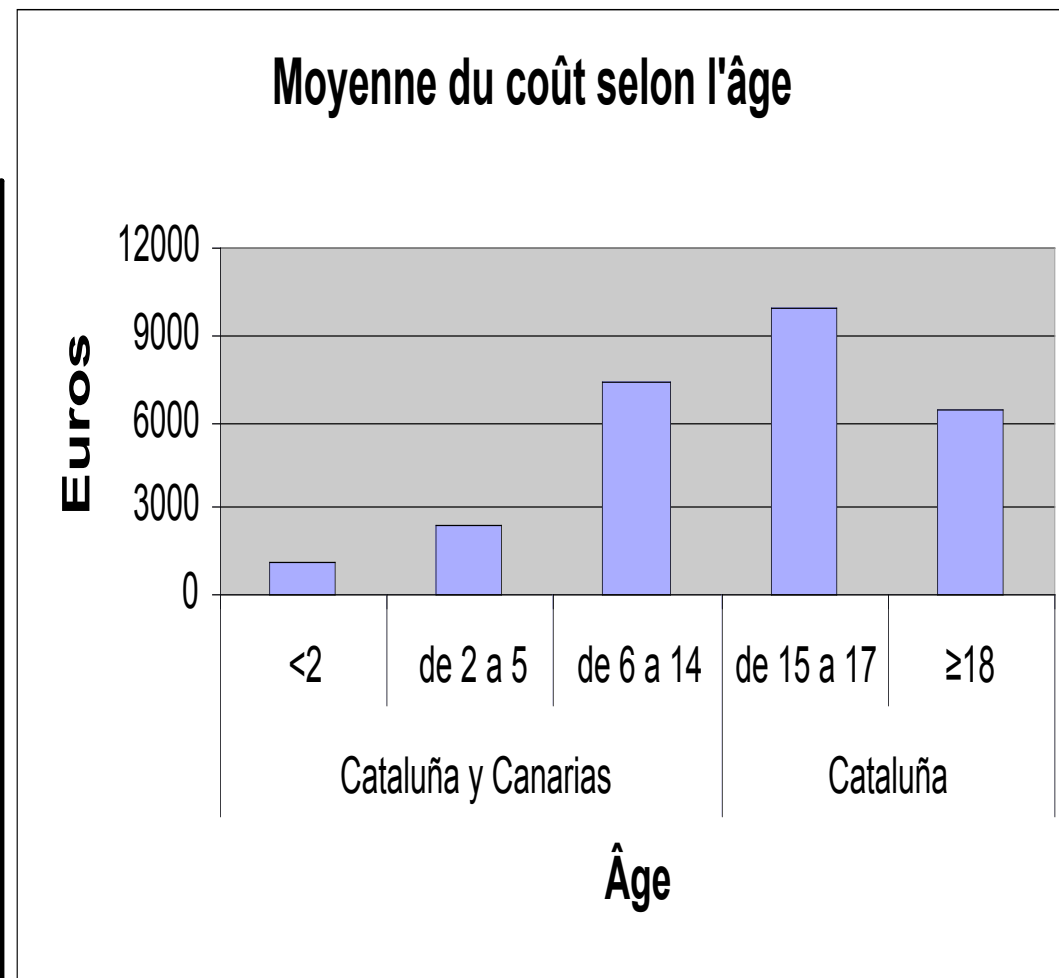
- Coût moyen par patient : 5 806,33 €
- Déviation standard : 6 324,08 €
- Oscillation du coût par patient dans la période étudiée : entre 17,09 € et 32 741,03 €

Résultats et discussion



Résultats et discussion

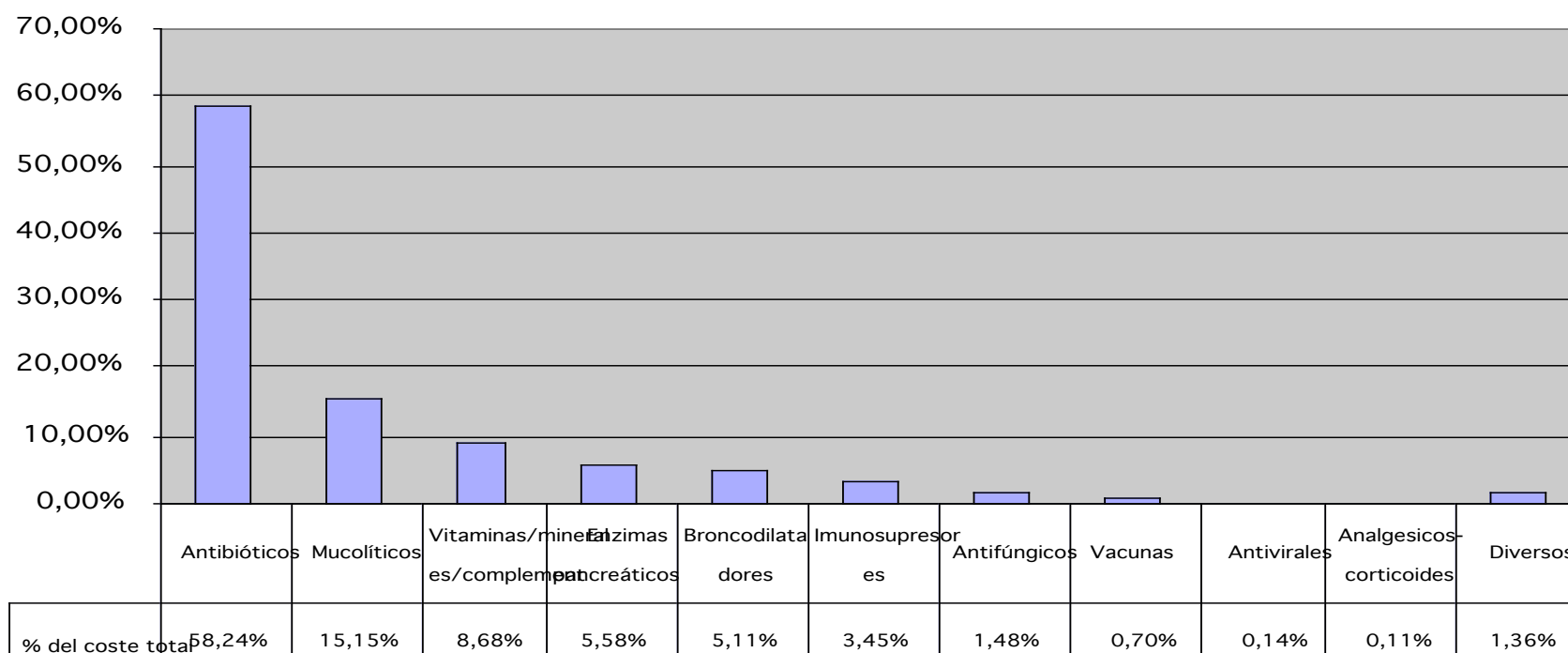
INTERVALLE D'ÂGE	NOMBRE DE PATIENTS ÉTUDIÉS
Catalogne et Canaries	
<2	22
De 2 à 5	40
De 6 à 14	80
Catalogne	
De 15 à 17	38
≥18	92



Résultats et discussion

2. Coût bisannuel par groupe de médicaments

DISTRIBUTION COÛT BISANNUEL (2002-2003)
PAR GROUPE DE MÉDICAMENTS



Résultats et discussion

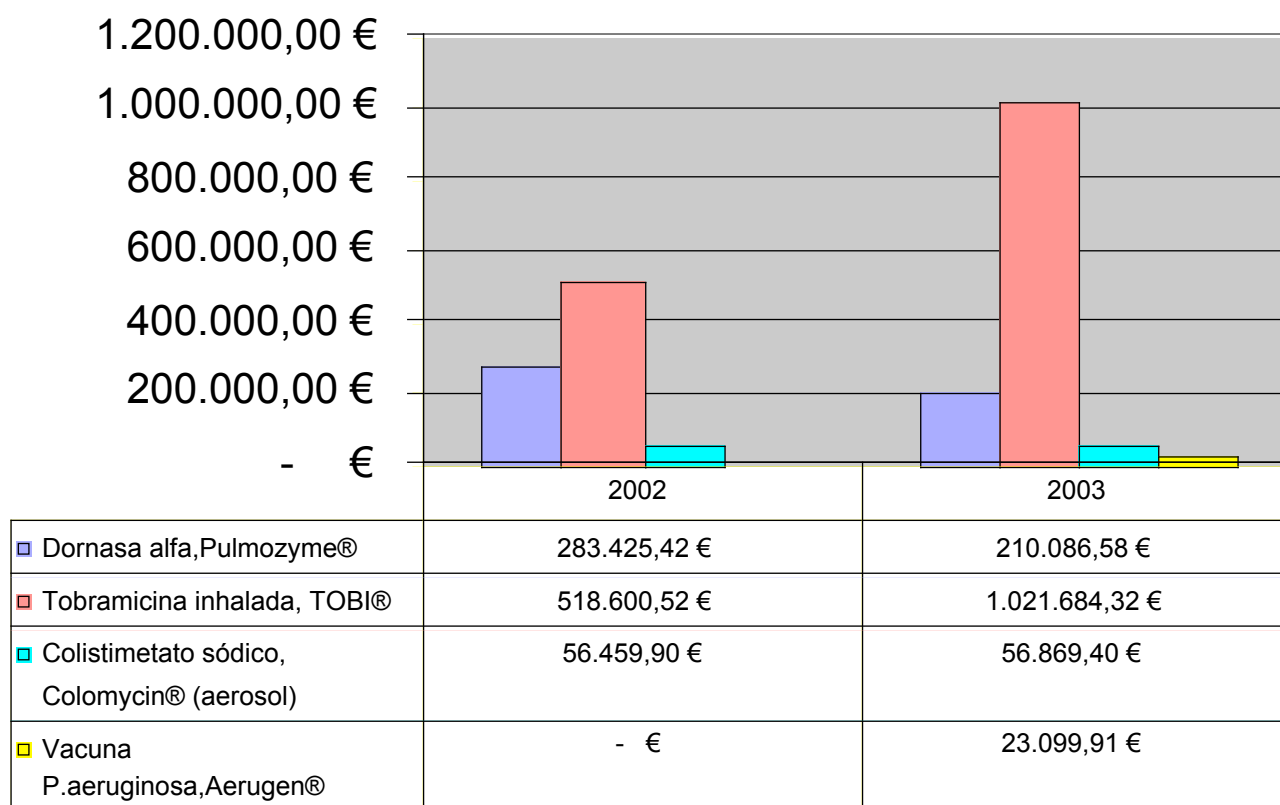
Coût bisannuel par groupe de médicaments

Antibiotiques	58,24%
Mucolitiques	15,15%
Vitamines/minéraux/compléments diététiques	8,68%
Enzymes pancréatiques	5,58%
Bronchodilatateurs	5,11%
Immunosuppresseurs	3,45%
Antifongiques	1,48%
Vaccins	0,70%
Antiviraux	0,14%
Analgésiques-corticoïdes	0,11%
Divers	1,36%

Résultats et discussion

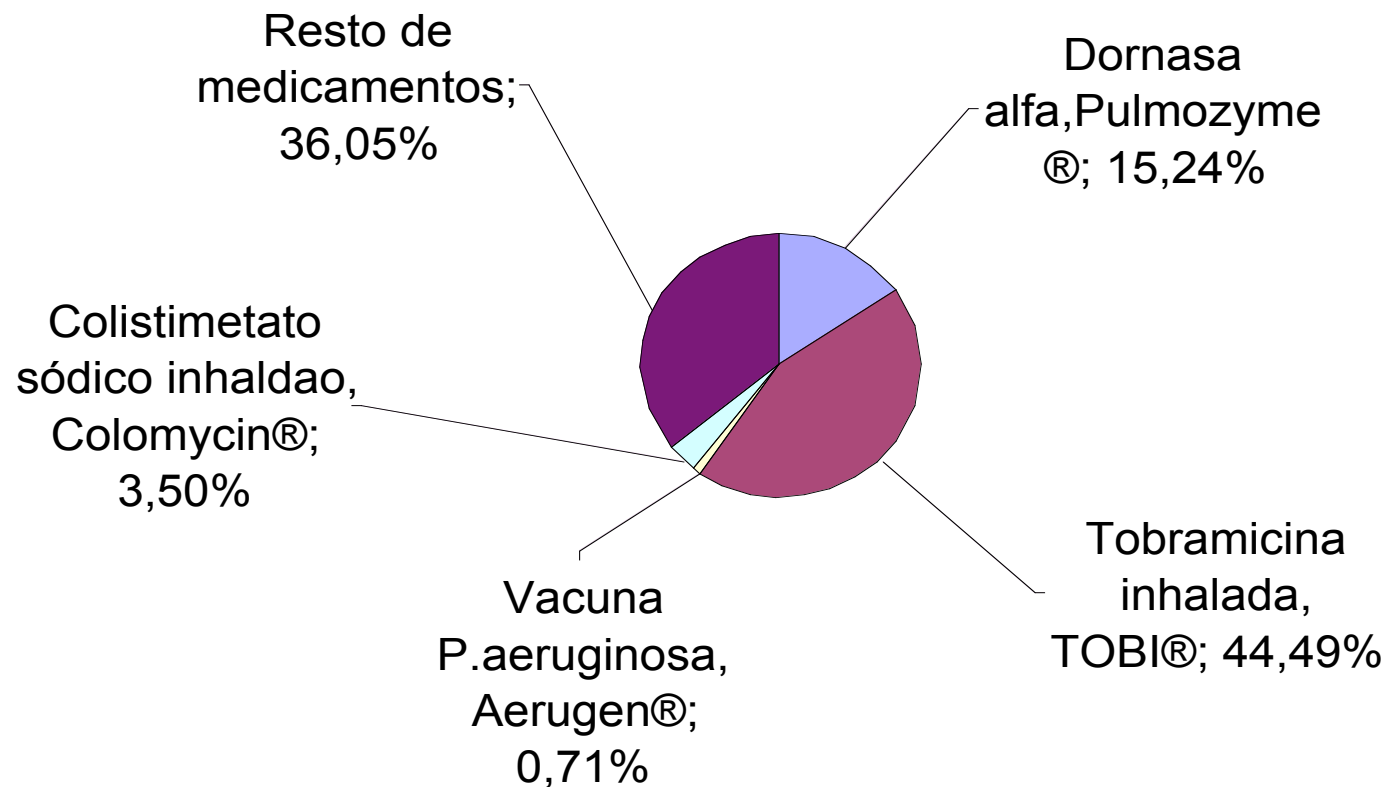
3. Coût de médicaments orphelins par rapport au coût total

Évolution coût médicaments orphelins dans les hôpitaux étudiés
2002-2003



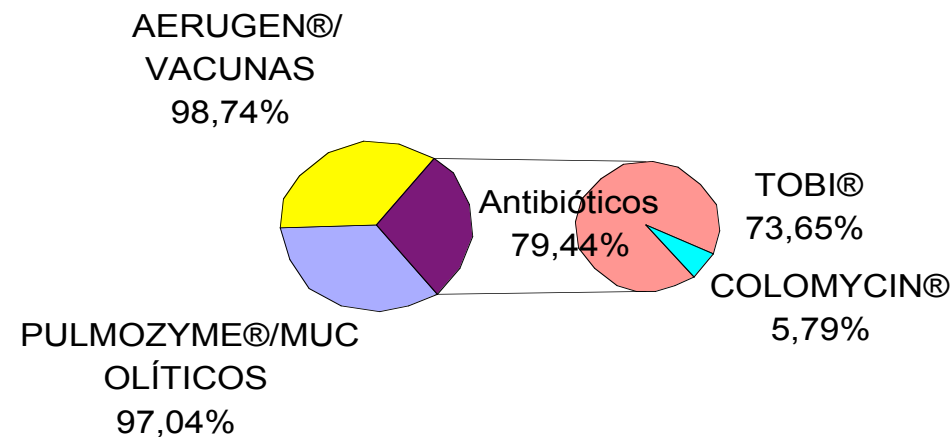
Résultats et discussion

IMPORTANCE DU MO DANS LE TOTAL DU COUT BISANNUEL (202-2003) DANS LE TRAITEMENT FK



Résultats et discussion

Étude en % du coût du médicament orphelin par rapport à son groupe de médicaments



Conclusions (I)

- Le coût annuel moyen par patient est de 5 806,33 euros ; cependant, il y a une grande dispersion qui va de 17,09 euros à 32 741 euros, avec une déviation standard de 6 324,08, supérieure à la moyenne ; seuls 6 % des patients présentent un coût inférieur à 100 euros et environ 1 % est supérieur à 24 000 euros.
- Le coût du traitement de la fibrose kystique augmente avec l'âge du patient jusqu'à l'âge adulte à partir de quoi il semble diminuer.

Conclusions (II)

- Dans le traitement de la fibrose kystique, les antibiotiques représentent la partie principale du coût total, allant même jusqu'à dépasser 50 %. Les suivent par importance les mucolitiques, la diétothérapie et les suppléments nutritionnels ainsi que les enzymes pancréatiques.
- Les quatre médicaments orphelins étudiés représentent 63,94 % du coût bisannuel dans les hôpitaux impliqués dans l'étude.
- Il y a une claire augmentation de l'utilisation de la tobramycine inhalée au cours de l'année 2003 et, par contre, une diminution de dornase alpha.

Conclusions (III)

- Dans le cas de la vaccination contre le *pseudomonas aeruginosa* on observe, malgré son utilisation sur un nombre très réduit de malades, que l'implication du coût de cette vaccination par rapport au total, au sein de l'échantillon étudié, a déjà une valeur qui indique qu'elle pourrait être significative dans les années à venir. Par conséquent, il sera nécessaire de poursuivre l'étude afin d'évaluer l'implication économique de cette nouvelle alternative thérapeutique.