

ETUDE RAPALAM- LA VIE DES LAMISTES ANALYSÉE PAR PFIZER

Le compte-rendu du 20 mars 2019 de la Commission de la Transparence de la Haute Autorité de santé signale que la société pharmaceutique Pfizer a présenté la demande suivante :

- Le laboratoire PFIZER demande l'inscription sécurité sociale et collectivités de RAPAMUNE 0,5 mg, 1 mg, 2 mg et 1mg/ml, comprimé enrobé, dans l'extension d'indication :
- « RAPAMUNE est indiqué en traitement de la lymphangioléiomyomatose sporadique avec atteinte pulmonaire modérée ou détérioration de la fonction pulmonaire. »
- Le laboratoire sollicite un SMR (Service Médical Rendu) important et une ASMR IV [Amélioration du Service Médical Rendu] avec l'argumentaire suivant : « Le service médical rendu de RAPAMUNE dans le traitement de la LAM sporadique avec atteinte pulmonaire modérée ou détérioration de la fonction pulmonaire est important. »
- « RAPAMUNE apporte une amélioration du service médical rendu de niveau IV dans la stratégie thérapeutique des patients atteints d'une LAM sporadique avec atteinte pulmonaire modérée ou détérioration de la fonction pulmonaire. »

A la suite de cette demande, Pfizer lance une étude intitulée RAPALAM et portant sur une analyse de « la vie réelle » des patientes traitées par Rapamune® (sirolimus) pour une lymphangioléiomyomatose (LAM) en France. Le projet a été déposé le 20 avril 2022 et autorisé par la CNIL (Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés) en septembre de la même année.

Cette recherche se fait à partir des données du SNDS (Système National des Données de Santé).

Précisons que le SNDS est unique en Europe, voire au monde, et constitue un outil considérable pour analyser et améliorer la santé de la population. Géré par la CNAMTS (Caisse Nationale de l'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés), le SNDS permet de lier :

- les données de l'Assurance Maladie (base SNIIRAM - Système national d'information inter-régimes de l'Assurance maladie) ;
- les données des hôpitaux (base PMSI - Programme de Médicalisation des Systèmes d'Information) ;
- les causes médicales de décès (base du CépiDC [Centre d'épidémiologie sur les causes médicales de décès] de l'Inserm) ;
- les données relatives au handicap (en provenance des MDPH [Maison Départementale pour les Personnes Handicapées] - données de la CNSA [Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie]) ;
- un échantillon de données en provenance des organismes d'Assurance Maladie complémentaire.

OBJECTIF PRINCIPAL DE L'ÉTUDE :

- Décrire l'évolution de la maladie (apparition de complications/événements d'aggravation de la maladie) des patientes LAM traitées par sirolimus en France entre janvier 2014 et décembre 2021.

OBJECTIFS SECONDAIRES :

- Estimer le nombre de patientes LAM traitées par sirolimus en France entre janvier 2014 et décembre 2021.
- Décrire les caractéristiques des patientes LAM traitées par sirolimus en France entre janvier 2014 et décembre 2021.
- Estimer le délai entre le diagnostic de la LAM et l'initiation du traitement par sirolimus.
- Étudier le risque de survenue de certains événements indésirables d'intérêt chez les patientes LAM traitées par sirolimus en France entre janvier 2014 et décembre 2021.
- Décrire les consommations de soins et les coûts associés des patientes LAM traitées par sirolimus en France entre janvier 2014 et décembre 2021.

OBJECTIF EXPORATOIRE

- Décrire et comparer la fréquence et le délai d'apparition d'événements d'intérêt chez les patientes LAM selon leur exposition au sirolimus (ou d'autres inhibiteurs mTOR).

Cette étude sera conduite chez les femmes adultes ayant reçu au moins une délivrance de sirolimus ou une hospitalisation avec un code de LAM.

BÉNÉFICES ATTENDUS

Cette étude observationnelle rétrospective basée sur les données du SNDS va permettre de répondre à la demande de la Commission de Transparence de la Haute Autorité de Santé du 3 avril 2019, en apportant des données permettant de caractériser les patientes LAM traitées par sirolimus et décrire le devenir de leur maladie.

Ces données seront intégrées dans le prochain dossier de transparence, comme requis par la HAS.

POPULATION CONCERNÉE

SNDS (Système National des Données de Santé). Les patientes présentant les critères suivants seront incluses:

- Femmes adultes avec au moins une délivrance de sirolimus (ATC L04AA10) ou une hospitalisation avec un code de LAM (code CIM-10 J984).

Ces patientes seront ensuite séparées en deux populations d'étude, permettant de répondre aux objectifs de l'étude :

- Population 1 : Patientes avec au moins une délivrance de sirolimus.
- Population 2 : Patientes avec au moins une hospitalisation avec un code de LAM.

Période d'inclusion / ciblage : du 01/01/2014 au 31/12/2021

<https://health-data-hub.fr/projets/etude-rapalam-etude-en-vie-reelle-des-patients-traitees-par-rapamuner-sirolimus-pour-une>