

Coût des maladies rares en France en 2017

Une analyse des données du Système National des Données de Santé (SNDS) sur 5 pathologies

Anne Duburcq¹, Célia Mercier², Daniel Scherman², Pierre Lévy³, Nadia Bahi-Buisson^{4,5}, Isabelle Desguerre⁶, Frédéric Galactéros⁷, Guillaume Jondeau⁸, Sophie Susen⁹, Laurène Courouve¹, Bruno Detournay¹

1-CEMKA, 2-Fondation Maladies Rares, 3-Université Paris-Dauphine, 4-Hôpital Necker, 5-Institut Imagine, 6-Hôpital Necker, 7-GHU Henri Mondor, 8-Hôpital Bichat, 9-CHU Lille

- **CONTEXTE** : fort intérêt de disposer de données de coûts pour les maladies rares -> intérêt d'un travail méthodologique sur l'évaluation de ces coûts via le SNDS, porté par la Fondation Maladies Rares
- **OBJECTIF** : évaluer les **coûts directs** de la prise en charge médicale de certaines pathologies rares et estimer le **surcoût spécifique** lié à la maladie
- **BASES DE DONNEES** : SNDS
- **POPULATION** : 5 pathologies rares identifiables à partir de codes diagnostiques et sélectionnées de manière à illustrer des **situations et manifestations morbides contrastées**

Syndrome de Rett

Drépanocytose

Syndrome de Marfan

Amyotrophie spinale infantile (SMA)

Maladie de Willebrand

- **PERIODE D'ANALYSE** : données de consommation de soins étudiées sur une année complète [2017]. Analyse économique conduite en date de soins et non en date de remboursement des soins
- **COMITE SCIENTIFIQUE** et travail avec des experts des 5 pathologies



Coût des maladies rares en France en 2017

Une analyse des données du Système National des Données de Santé (SNDS) sur 5 pathologies

Anne Duburcq¹, Célia Mercier², Daniel Scherman², Pierre Lévy³, Nadia Bahi-Buisson^{4,5}, Isabelle Desguerre⁶, Frédéric Galactéros⁷, Guillaume Jondeau⁸, Sophie Susen⁹, Laurène Courouve¹, Bruno Detournay¹



CONTEXTE

- Les maladies rares (prévalence inférieure à 1 pour 2 000 personnes) sont des maladies graves, souvent chroniques, parfois évolutives. Elles sont très nombreuses (entre 5 000 et 7 000), souvent d'origine génétique et concernent 3 à 4 millions de personnes en France. Les données sur l'économie des maladies rares au sens large sont très limitées. Si quelques données anglo-saxonnes sont disponibles [1-2], elles sont souvent peu adaptées à la situation française et difficilement interprétables du fait de méthodologies variables.
- La recherche de données socio-économiques est une thématique d'actualité dans le champ des maladies rares, tant pour les patients que pour les nombreux acteurs impliqués (Autorités de Santé, centres de référence, équipes de recherche, laboratoires pharmaceutiques, associations de patients). La morbi-mortalité des pathologies rares est un élément important pour orienter les choix en matière de politique publique de santé et donc de prise en charge.

METHODE

D'où le souhait de la Fondation Maladies Rares de réaliser une étude fondée sur l'exploitation des données du SNDS en ciblant 5 pathologies rares identifiables à partir de codes diagnostiques et sélectionnées de manière à illustrer des situations et manifestations morbides contrastées.

OBJECTIFS

Évaluer les coûts directs de la prise en charge médicale de certaines pathologies rares à partir des bases du Système National des Données de Santé (SNDS) et estimer le surcoût spécifique lié à la maladie.

RESULTATS

Tableau 1. Coûts de la consommation médicale en 2017

	Rett	Drépanocytose	Marfan	SMA type II	Willebrand
Population d'analyse**	694	19 016	5 243	1 085	8 762
% de sexe féminin	95,1%	39,7%	46,8%	42,2%	65,3%
Age moyen en 2017	19,1 ans	29 ans	37,9 ans	33,9 ans	41,1 ans
Dépense totale (en €)	13 225 €	8 740 €	5 003 €	18 762 €	5 904 €
(Moynon médiane)	16 517 €	11 524 €	11 482 €	11 308 €	11 308 €
Détail :					
Soins de ville	7 831 €	3 681 €	2 637 €	11 391 €	4 135 €
Hospitalisations	5 394 €	5 059 €	2 366 €	7 370 €	1 769 €
** 1 ^{er} poste de dépense en soins de ville					
Matériel médical	435 €	1 817 €	1 809 €	6 262 €	2 496 €
Pharmacie			655 €		
Honoraires médicaux					
Matériel médical					
Pharmacie					
Part des hospitalisations dans la dépense totale	41%	55%	48%	40%	22%
Coût direct de la pathologie par patient (surcoût estimé)	12 364 €	7 456 €	3 376 €	17 318 €	3 685 €
Estimation du fardeau collectif (en €) en 2017	9,9 M€	184,6 M€	21,5 M€	219 M€	37,3 M€

CONCLUSION

Malgré une méthodologie exploratoire, des difficultés d'identification des pathologies dans les bases du SNDS, l'étude a mis en évidence pour chaque pathologie un surcoût significatif lié à la maladie et à ses complications. Les dépenses non présentées au remboursement, et donc certains restes à charge, ne sont pas pris en compte dans cette analyse mais seront estimés dans un volet complémentaire de l'étude, via un recueil auprès des patients/familles.

En dépit de ses limites, l'exploitation du SNDS dans le cadre de l'estimation du fardeau économique des maladies rares semble prometteuse. La démarche pourrait être étendue à d'autres maladies pour lesquelles les sujets atteints peuvent être identifiés cliniquement puis retrouvés dans les bases nationales de consommation de soins (catalinage de données de registre ou appariement à une enquête).

Références :

1- Angeli A, Tordrup D, Kavaou P. Socio-economic burden of rare diseases: A systematic review of cost of illness evidence. Health Policy. 2015;139(7):964-979. doi:10.1016/j.healthpol.2014.12.016

2- Gattuso A, Garcia-Perez L, Gonzalez I. Cost of illness in rare diseases. Adv Exp Med Biol. 2013;1031:281-297. doi:10.1007/978-1-4939-7144-4_17

En partenariat avec la Fondation Maladies Rares et le soutien financier de la Fondation d'entreprise IRCEM - A. Duburcq (anne.duburcq@cemka.fr), B. Detournay et L. Courouve sont employés par Cemka, chargé de la réalisation de l'étude. Les experts sollicités n'ont pas de lien d'intérêt en rapport avec cette étude.

Figure 1. Méthode de sélection dans le SNDS

Entre 2012 et 2016, identification du code diagnostique de la pathologie (CM10) et du diagnostic principal, celle ou associée d'une hospitalisation ET/OU dans le cadre d'une ALD.

Pour chaque individu identifié, sélection de 3 témoins.

App. ville, département de résidence similaires MAIS vivant pas la pathologie étudiée.

*R84.2 - Syndrome de Rett
*D57.A, D57.1, D57.2 - Affections à hématies polymorphes (drépanocytose)
*Q87.4 - Syndrome de Marfan
*I21.1 - Autres amyotrophies spinales héréditaires
*D66.0 - Maladie de von Willebrand - (ET absence de code diagnostic d'hémophilie entre D66, D67, D68.1)

CEMKA-AFCRO 2020, 18 /09/2020

1

MÉTHODE DE SÉLECTION DANS LE SNDS

Coût direct spécifique attribuable à la maladie évalué en comparant les coûts des dépenses de santé observées dans la population cible à ceux observés dans une population témoin.

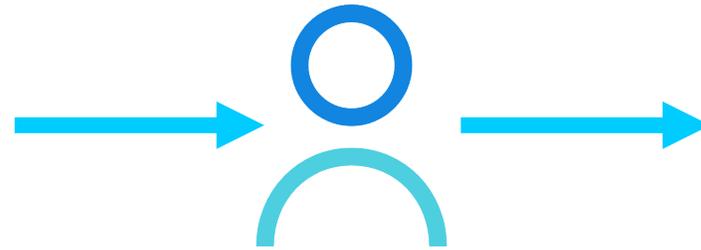
Entre 2012 et 2016

Identification du code diagnostic de la pathologie [CIM10]*

- En diagnostic principal, relié ou associé d'une hospitalisation

ET/OU

- Dans le cadre d'une ALD



Pour **chaque individu identifié**,
sélection de **3 témoins**

Âge, sexe, département de
résidence similaires

MAIS n'ayant pas la pathologie
étudiée

***F84.2** : « Syndrome de Rett »

***D57.0, D57.1, D57.2** : « Affections à hématies falciformes [drépanocytaires] »

***Q87.4** : « Syndrome de Marfan » -

***G12.1** : « Autres amyotrophies spinales héréditaires »

***D68.0** : « Maladie de von Willebrand » - ET - absence de code diagnostic d'hémophilie autre (D66, D67, D68.1)

RÉSULTATS

Coût total annuel calculé par patient et détaillé par grands postes de consommations.

	Rett	Drépanocytose	Marfan	SMA type II, III et IV	Willebrand
Population d'analyse**	694	19 016	5 243	1 085	8 762
% de sexe féminin	95,1%	39,7%	46,8%	48,2%	65,3%
Age moyen en 2017	19,1 ans	29 ans	37,7 ans	33,9 ans	41,1 ans
Dépense totale [en €]	13 225 €	8 740 €	5 003 €	18 762 €	5 904 €
[Moyenne [médiane]]	[6 517 €]	[3 524 €]	[1 682 €]	[10 389 €]	[1 326 €]
Détail :					
Soins de ville	7 831 €	3 681 €	2 637 €	11 391 €	4 135 €
Hospitalisations [MCO+SSR]	5 394 €	5 059 €	2 366 €	7 370 €	1 769 €
1^{er} poste de dépense en soins de ville	Matériel médical 4 336 €	Pharmacie 1 817 €	Honoraires médicaux 655 €	Matériel médical 6 262 €	Pharmacie 2 498 €
Part des hospitalisations dans la dépense totale	41%	55%	48%	40%	22%
Coût direct de la pathologie par patient [surcoût estimé]	12 364 €	7 456 €	3 376 €	17 318 €	3 685 €
Estimation du fardeau collectif [en €] en 2017	9,9 M€	184,6 M€	21,5 M€	21,9 M€	37,3 M€

- **Dépense annuelle moyenne** par patient allant de 5 003 € [Marfan] à 18 762 € [SMA]
- Dépense de 2,7 [Willebrand] à 15,4 fois [Rett] supérieure au coût moyen des dépenses de santé d'une population témoin
- **Hospitalisations** = poste significatif [de 22% à 55%] dans la dépense totale
- **Matériel médical** = principal poste de dépense [hors hospitalisation] pour la SMA et le syndrome de Rett
- **Dépenses de pharmacie** = principal poste de dépense [hors hospitalisation] pour la drépanocytose et la maladie de Willebrand

*Pour chaque pathologie, ces montants moyens masquent la **grande variabilité des dépenses** de soins selon les patients (selon l'âge, la sévérité de la maladie, ...)*

CONCLUSION

- Mise en évidence pour chaque pathologie d'un surcoût significatif lié à la maladie et à ses complications.
- Dépenses non présentées au remboursement ne sont pas prises en compte dans cette analyse -> Seront estimées dans un volet complémentaire de l'étude, via un recueil auprès des patients/familles sur leurs restes à charge.
- **Le SNDS pour estimer le fardeau économique des maladies rares : des limites mais prometteur et intérêt à étendre la démarche à d'autres maladies.**