The background features a dark blue diagonal band with a white-to-blue gradient, overlaid with a complex, wavy, wireframe mesh pattern. A large orange triangle is on the left, and a light grey triangle is at the bottom left.

# TRAITEMENTS DELIVRES A DES PATIENTS ATTEINTS DE MYASTHENIE EN FRANCE

Une analyse du PMSI

20/05/2021



1

# CONTEXTE

# CONTEXTE

## Treatments de fond délivrés durant une hospitalisation

Soliris® (L04AA25) : 1 perfusion/semaine pendant 5 semaines puis /2 semaines

Mabthera® (L01XC02) : cure de 375 mg/m<sup>2</sup> par semaine en perfusion intraveineuse, quatre semaines de suite ou 1 g, deux fois (à 15 jours d'intervalle)

- Les 2 sont sur la liste en sus mais pour d'autres indications que la myasthénie
    - Or, depuis septembre 2018, l'indication doit être mentionnée avec le produit remboursé
    - Et depuis mars 2019, le remboursement est conditionné par l'existence d'une indication remboursée qui doit être mentionnée
- > dans quelle mesure cela aura un impact sur le renseignement des produits de la liste en sus pour les indications non remboursées ?

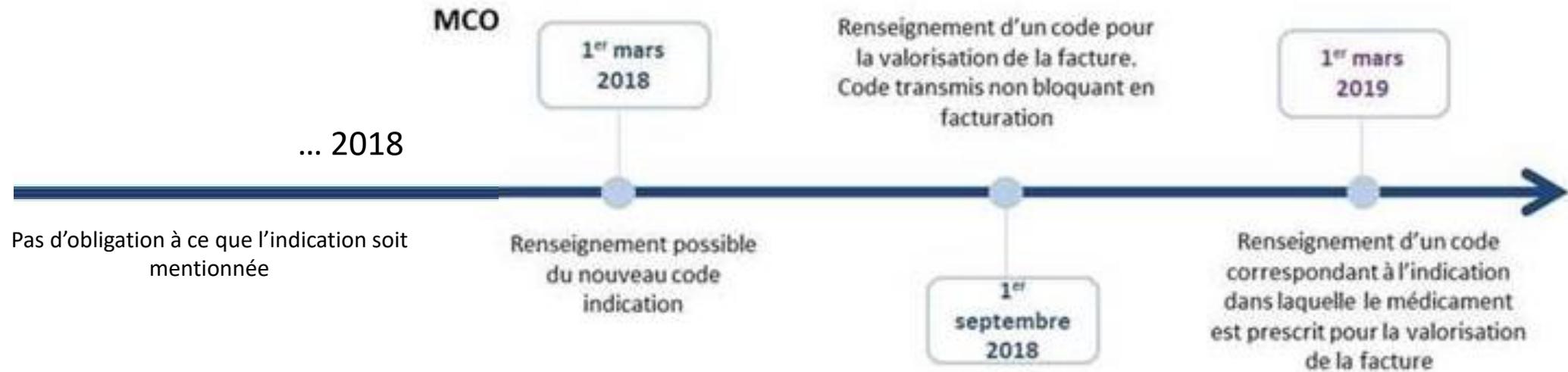
## Treatments de la crise myasthénique

Immunoglobulines (J06BA01, J06BA02)

Echanges plasmatiques

Code	Intitulé	Echange plasmatique
FEJF001	Séance d'épuration semisélective de substance plasmatique par double filtration [épuration en cascade]	?
FEJF002	Séance non programmée de soustraction thérapeutique de plasma avec perfusion de produit de substitution [échange plasmatique] pour affection aiguë	Oui
FEJF004	Séance programmée de soustraction thérapeutique de plasma avec perfusion de produit de substitution [échange plasmatique] pour affection chronique	oui
FEJF005	Séance d'épuration chimique des lipoprotéines [LDLaphérèse] à partir du plasma ou du sang total	?
FEJF007	Séance d'épuration immunologique de substance plasmatique [immunoabsorption]	?
FEJF009	Séance d'ultrafiltration plasmatique	?

# CONTEXTE



Le code I999999 doit être utilisé lorsque l'indication est hors AMM mais médicalement justifiée conformément à l'article L. 5121-12-1 du code de la santé publique.  
Le code I999998 doit être utilisé lorsque la spécialité fait l'objet de recherches biomédicales au sens de l'article L. 1121-1 du code de la santé publique.

→ une justification doit être associée à l'utilisation de ce code

### 3.2.2 Codage I999999 des situations de maintenance

Dans les situations hors AMM, le codage I999999 des situations de maintenance est accepté quand :

- l'état du patient le justifie;
- il existe un intérêt clinique important à la poursuite du traitement ;
- il existe des données de la littérature scientifique permettant de justifier cet usage.

# CONTEXTE

- Les indications explicites figurent maintenant en regard de chaque délivrance
- Un code générique est inscrit lorsque le médicament n'est pas administré dans le cadre de l'une des indications prévues
- Des codes sont prévus par défaut lorsqu'aucune indication n'est mentionnée (0000000, I009999)

## Exemple rituximab

indication	Label
I999999	Prescription en dehors d'une indication prévue par l'autorisation de mise sur le marché au sens de l'article L. 5121-12-1 du code de la santé publique
I000398	Traitement immunomodulateur : poussées aiguës de myasthénie
I000280	Traitement immunomodulateur chez les adultes et chez les enfants et adolescents (0-18 ans) en cas de polyradiculonévrite inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC). Les données cliniques disponibles sur l'utilisation des immunoglobulines intraveineuses chez les enfants atteints de PIDC sont limitées.
I000253	Traitement de substitution dans les déficits immunitaires primitifs avec hypogammaglobulinémie ou atteinte fonctionnelle de l'immunité humorale,
I009999	
I000272	Traitement de substitution chez les adultes et chez les enfants et adolescents (0-18 ans) en cas de déficits immunitaires primitifs (DIP) avec altération de la production d'anticorps
0000000	



# 2

# METHODE

# METHODE

---

Identification de sujets ayant une myasthénie (G70\*)

Années 2016 à 2020

Les produits d'intérêt sont :

- Soliris® (L04AA25)
- Mabthera® et biosimilaires (L01XC02)
- Immunoglobulines (J06BA01, J06BA02)

Pour chaque année considérée (2016 à 2020) les analyses suivantes ont été conduites :

- Nombre et proportion de sujets traités par chacun de ces produits
- Durée des traitements



3

# RESULTATS

# RESULTATS

## RESULTATS PMSI

Sur les 5 années 2016 à 2020, 12 198 sujets ayant une myasthénie ont été identifiés

- Femmes : 55,1 %
- Age moyen 64 ans, médian 68 ans

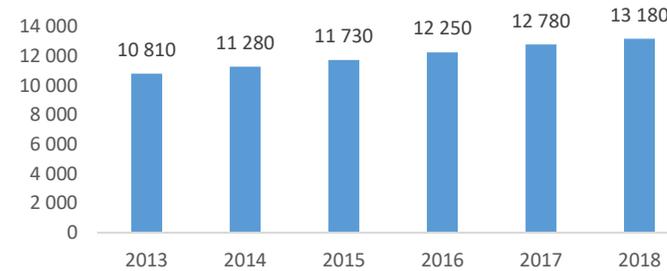
Age en 2020 en classes	
Moins de 25 ans	603 (4,9%)
25-39 ans	1 260 (10,3%)
40-54 ans	1 787 (14,6%)
55-69 ans	2 710 (22,2%)
70-84 ans	3 907 (32,0%)
85 ans et plus	1 931 (15,8%)

## CE QUI EST CONNU



13 180

Prévalence en France (ALD)



- Femmes : 58 %
- Age moyen 59 ans

# RESULTATS

Sur les 10 439 sujets :

- 1135 (9,3%) ont été traités par rituximab sur l'une des 5 années considérées (2016 à 2020)
- Le nombre de sujets recevant le rituximab augmente régulièrement de 2016 (285) à 2020 (651)
- 4889 (40,1%) ont été traités par immunoglobulines sur l'une des 5 années considérées (2016 à 2020)
- Le nombre de sujets recevant des immunoglobulines est stable selon les années considérées
- 11 (0,1%) ont été traités par Soliris

	2016	2017	2018	2019	2020
Soliris	2	2	5	4	7
Rituximab	285	360	484	578	651
Immunoglobulines	1 487	1 617	1 606	1 570	1 545

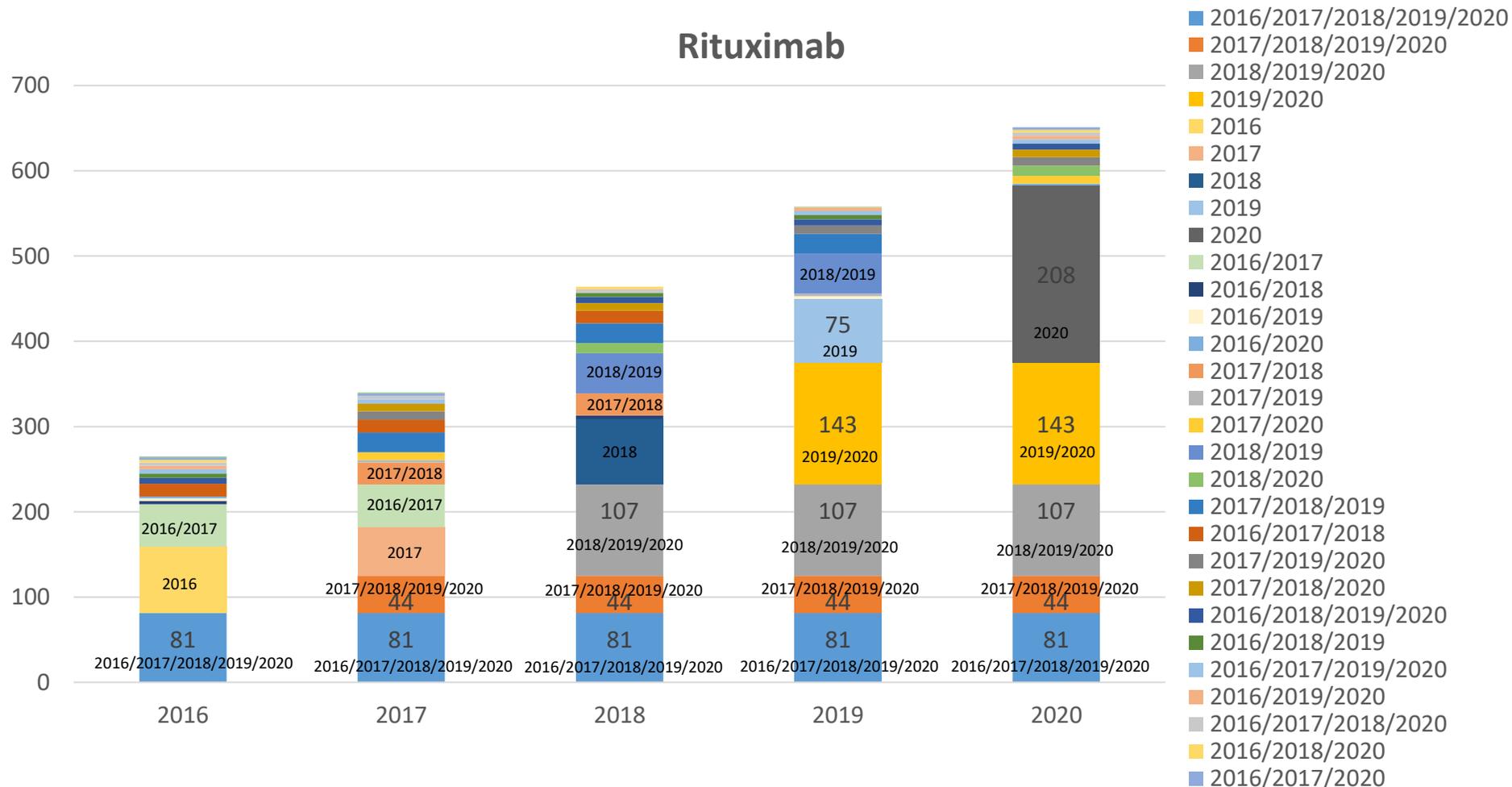
# RESULTATS RITUXIMAB

- 81 sujets ont reçu du rituximab sur les 5 années considérées
- 44 ont reçu le produit en 2017, 2018, 2019 et 2020
- 107 ont reçu le produit en 2018, 2019 et 2020
- 143 l'ont reçu en 2019 et 2020

L'utilisation du rituximab augmente de façon régulière et importante entre 2016 et 2020

Sur les 651 sujets ayant eu du rituximab en 2020

- 81 en avaient également eu en 2016, 2017 et 2018 et 2019
- 44 en avaient eu en 2017, 2018, et 2019
- 107 en avaient eu en 2018 et 2019
- 143 en avaient eu en 2019
- 208 n'en ont eu qu'en 2020



# RESULTATS RITUXIMAB

Sur les 484 sujets ayant eu du rituximab en 2018, 470 indications ont été rapportées

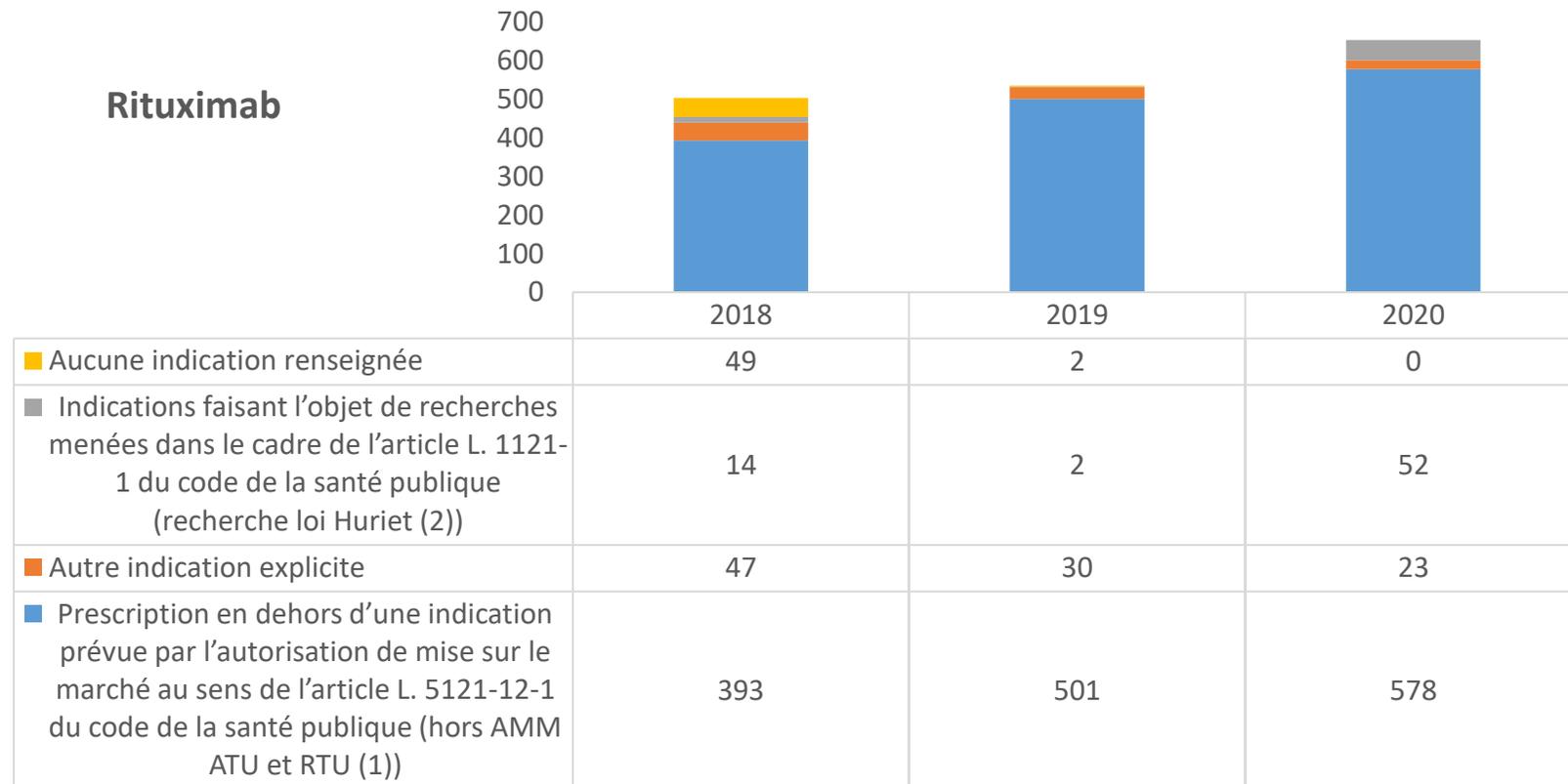
Sur les 578 sujets ayant eu du rituximab en 2019, 588 indications ont été rapportées

Sur les 651 sujets ayant eu du rituximab en 2020, 653 indications ont été rapportées

Cette indication était dans la grande majorité des cas hors AMM, ATU ou RTU

Entre 2018 et 2019 on observe une diminution des cas ou aucune indication n'a été rapportée et des cas ou une indication explicite (entrant dans la cadre d'une AMM, ATU ou RTU)

Rituximab



1. [https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article\\_lc/LEGIARTI000041721223/](https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article_lc/LEGIARTI000041721223/)
2. [https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article\\_lc/LEGIARTI000032722870/](https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article_lc/LEGIARTI000032722870/)

# RESULTATS RITUXIMAB

## Autres indications « explicite »

Code	Indication	2018	2019	2020
I000228	En association à une chimiothérapie, traitement des patients présentant un lymphome folliculaire de stade III-IV n'ayant jamais été précédemment traités.	28	6	3
I000234	En association au méthotrexate traitement de la polyarthrite rhumatoïde active, sévère, chez les patients adultes qui ont présenté une réponse inadéquate ou une intolérance aux traitements de fond, dont au moins un inhibiteur du facteur de nécrose tumorale (anti-TNF). Il a été montré que MabThera, en association au méthotrexate, réduit le taux de progression des dommages structuraux articulaires mesurés par radiographie et améliore les capacités fonctionnelles.	8	15	13
I000231	En association à une chimiothérapie "CHOP" (cyclophosphamide, doxorubicine, vincristine, prednisolone) traitement des patients présentant un lymphome non-hodgkinien agressif diffus à grandes cellules B, CD20 positif.	6	6	3
I000099	Traitement du psoriasis en plaques chronique sévère chez l'adulte, défini par : Un échec (c'est-à-dire patients non répondeurs, avec une contre-indication ou intolérants) à au moins deux traitements parmi les traitements systématiques non biologiques (MTX, ciclosporine) et la photothérapie et une surface corporelle atteinte étendue et/ou un retentissement psychosocial important,	1	0	0
I000229	Traitement d'entretien chez les patients présentant un lymphome folliculaire répondant à un traitement d'induction.	1	1	0
I000232	En association à une chimiothérapie, traitement des patients atteints de LLC, non précédemment traités et en rechute ou réfractaires. Les données disponibles sur l'efficacité et la tolérance sont limitées chez les patients précédemment traités par des anticorps monoclonaux dont MabThera, ou chez les patients réfractaires à un traitement antérieur par MabThera en association à une chimiothérapie.	1	0	2
I000233	En association aux glucocorticoïdes, traitement d'induction de la rémission des patients adultes atteints de granulomatose avec polyangéite (GPA) (maladie de Wegener) et de polyangéite microscopique (PAM) sévères et actives.	1	2	3

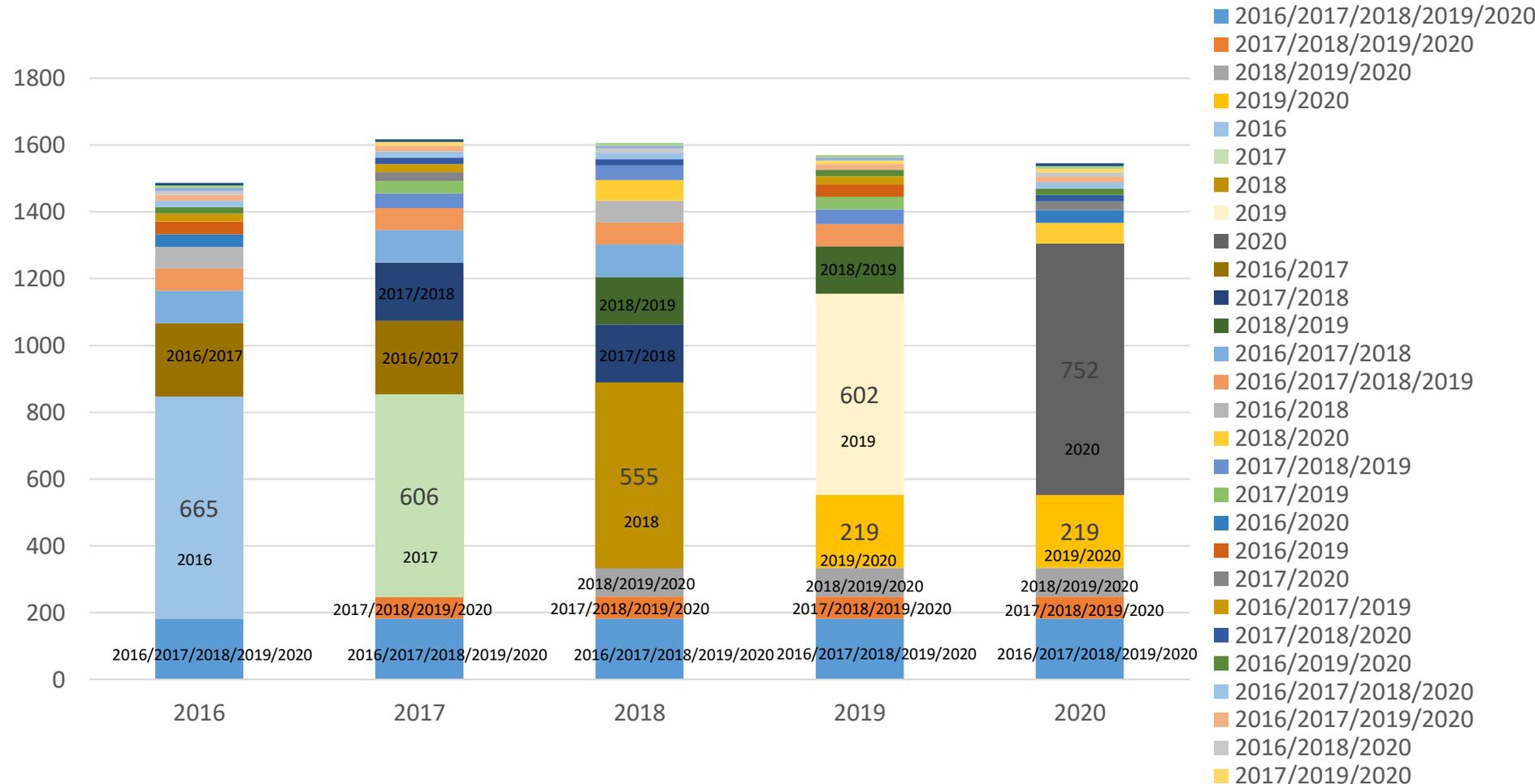
# RESULTATS IMMUNOGLOBULINES

- 182 sujets ont reçu des immunoglobulines sur les 5 années considérées
- 66 ont reçu des IG en 2017, 2018, 2019 et 2020
- 86 ont reçu des IG en 2018, 2019 et 2020
- 219 ont reçu des IG en 2019 et 2020

Le nombre de sujets traités est stable sur la période considérée

Sur les 1545 sujets ayant eu des IG en 2020:

- 182 en avaient également eu en 2016, 2017, 2018 et 2019
- 66 en avaient eu en 2017, 2018 et 2019
- 86 en avaient eu en 2018 et 2019
- 219 en avaient eu en 2019
- 752 n'en ont eu qu'en 2020



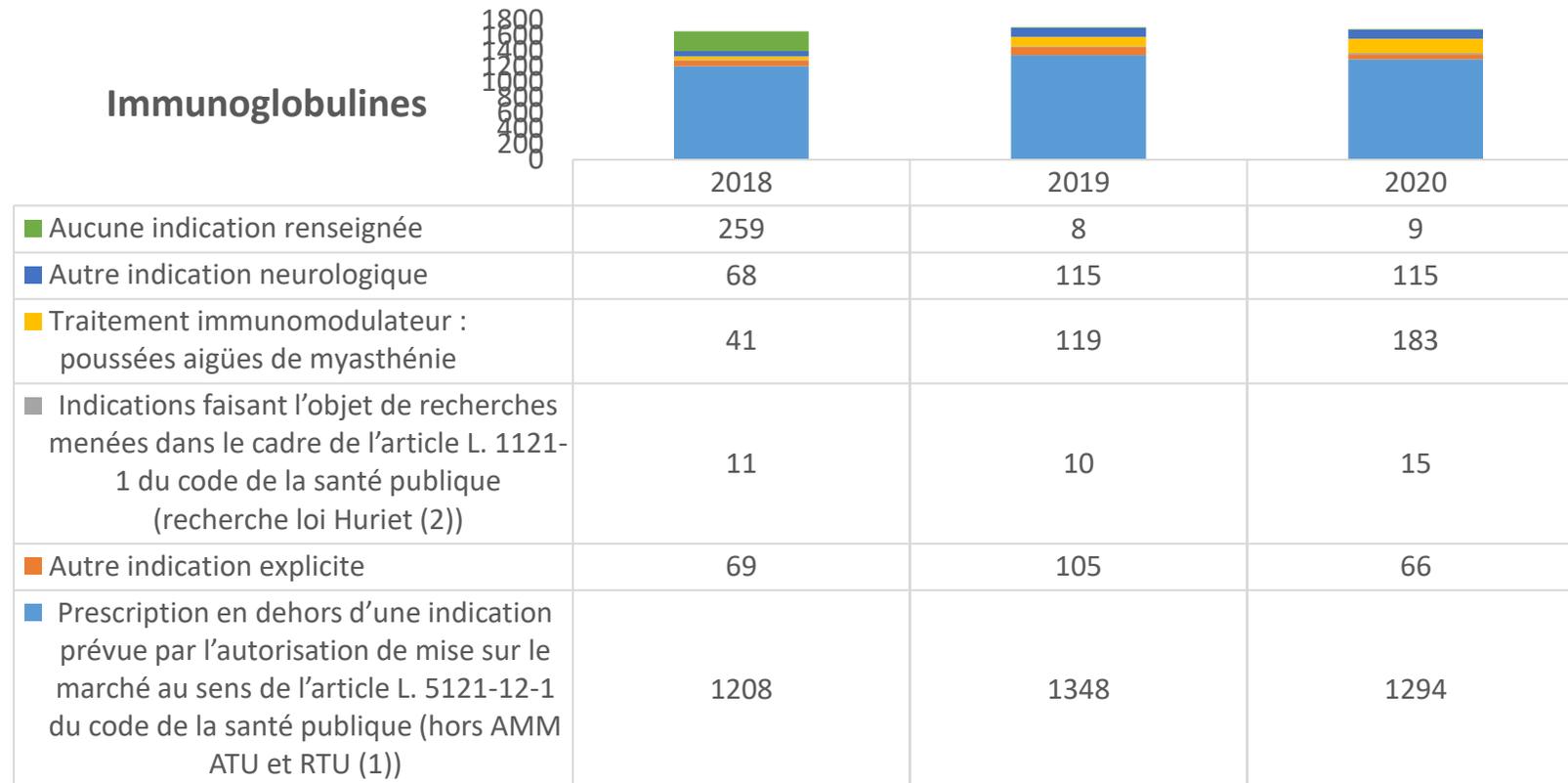
# RESULTATS IMMUNOGLOBULINES

Sur les 1606 sujets ayant eu des IG en 2018, 1434 indications ont été rapportées  
 Sur les 1570 sujets ayant eu des IG en 2019, 1693 indications ont été rapportées  
 Sur les 1545 sujets ayant eu des IG en 2020, 669 indications ont été rapportées

Cette indication était dans la grande majorité des cas hors AMM, ATU ou RTU

Entre 2018 et 2020 on observe une diminution des cas où aucune indication n'a été rapportée

Immunoglobulines



1. [https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article\\_lc/LEGIARTI000041721223/](https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article_lc/LEGIARTI000041721223/)

2. [https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article\\_lc/LEGIARTI000032722870/](https://www.legifrance.gouv.fr/codes/article_lc/LEGIARTI000032722870/)

# RESULTATS IMMUNOGLOBULINES

## Autres indications

Déficit immunitaire primitif (DIP)	Autre indication explicite
Déficits immunitaires secondaires (DIS) chez les patients souffrant d'infections graves ou récurrentes	Autre indication explicite
Déficits immunitaires secondaires de l'immunité humorale (LLC, myélome, ...)	Autre indication explicite
Hypogammaglobulinémie chez des patients en pré et post transplantation de cellules souches hématopoïétiques allogéniques	Autre indication explicite
Hypogammaglobulinémie et infections bactériennes récurrentes chez des patients atteints de myélome multiple	Autre indication explicite
Infections à Clostridium difficile (ICD), appelées également diarrhée associée à C. difficile (DACD).	Autre indication explicite
Infections bactériennes récidivantes chez l'enfant infecté par le VIH,	Autre indication explicite
Maladie de Kawasaki	Autre indication explicite
Non éligibles pour une greffe de cellules souches hématopoïétiques (GCSH) et présentant : une leucémie aiguë myéloblastique (LAM) avec 20 à 30 % de blastes et dysplasie de lignées multiples, selon la classification de l'Organisation Mondiale de la Santé (OMS)	Autre indication explicite
Purpura thrombopénique idiopathique (PTI)	Autre indication explicite
Thrombocytopénie immune primaire (TIP)	Autre indication explicite
Traitement des aspergilloses et des candidoses systémiques	Autre indication explicite
Neuropathie motrice multifocale (NMM).	Autre indication neurologique
Polyradiculoneuropathies inflammatoires démyélinisantes chroniques (PIDC)	Autre indication neurologique
Syndrome de Guillain et Barré.	Autre indication neurologique

