

FACTEUR VIII RECOMBINANT FC EN CONDITION DE VIE REELLE : RÉSULTATS CLINIQUES ET ECONOMIQUES

ORPHEM 2019

GIRAUD Romain

SOMMAIRE

I. Introduction

II. Design de l'étude

III. Résultats

IV. Conclusions

V. Discussions

- Hémophilie A : la maladie
 - Maladie constitutionnelle (Récessive lié à l'X) rare et grave (4000 cas en France, 400 000 dans le monde)
 - 3 degrés de sévérité (mineure FVIII : 5-40% ; modérée FVIII : 1-5% et sévère FVIII < 1%)
 - Age du diagnostic d'autant plus précoce que le déficit est sévère
 - Complications :
 - Hémorragiques (hémarthroses, etc ...)
 - Allo-anticorps
- Traitements : Injection IV de concentré de facteur VIII
 - 2 modalités de traitement : à la demande et sous prophylaxie
 - Différents types de facteur VIII
 - ✓ Facteur plasmatique
 - ✓ Facteur recombinant
 - ✓ Facteur recombinant à demi-vie allongée : Efmoroctocog (AMM : Octobre 2016)

Etude rétrospective : 1 an avant/après switch

Table 1 : Patients characteristic's N = 35

	Value/N(%)	Range	IQR
Age (years old)	18	5 - 78	18
Weight (Kg)	66	15 - 101	46,5
Severity level			
• severe	34(97%)	NA	NA
• moderate	1(3%)		
Prophylaxis treatment	34(97%)	NA	NA
On demand treatment	1(3%)	NA	NA
History of inhibitor	0%	NA	NA
Subgroups by age :			
• < 12 years old	8(22,8%)		
• 12 – 18 years old	10(28,6%)		
• > 18 years old	17(48,6%)		
Subgroups by regimen :		NA	NA
• Increase weekly dose (WD)	11(31,4%)		
• Similar regimen	15(42,9%)		
• Decrease weekly dose (WD)	9(25,7%)		
Patients with no bleeding			
• Before switch	8(22,9%)	NA	NA
• After switch	14 (40%)		

Objectif : Analyser les résultats clinico-économiques en conditions de vie réelle, du changement de traitement par FVIII à demi-vie prolongée sur une période de 12 mois avant et après le switch.

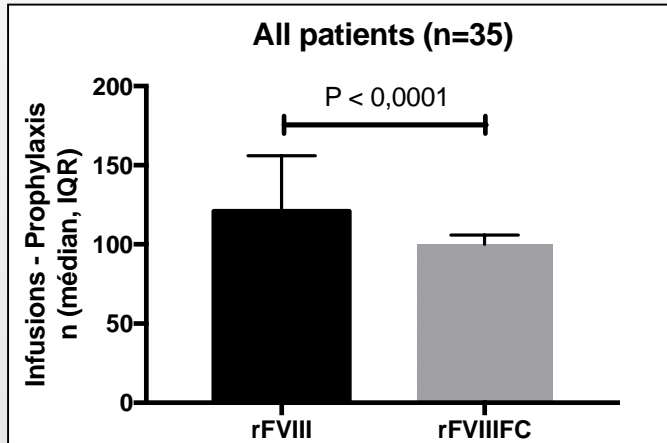
Introduction

Design de l'étude

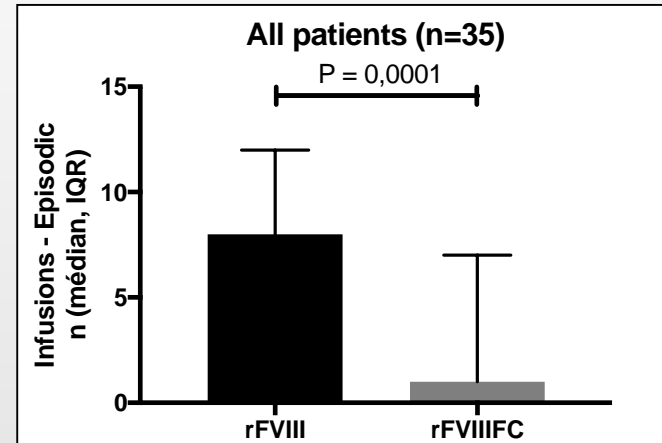
Résultats

Conclusions

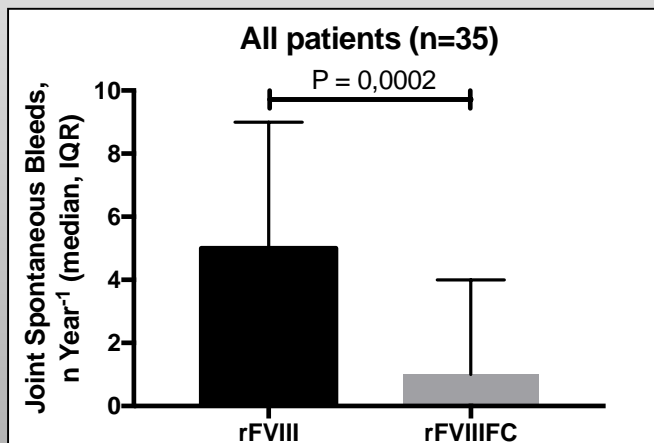
Discussions



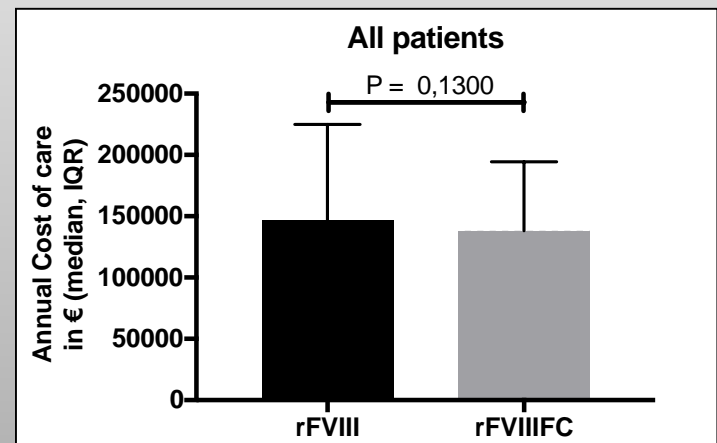
-20% d'injections prophylactiques



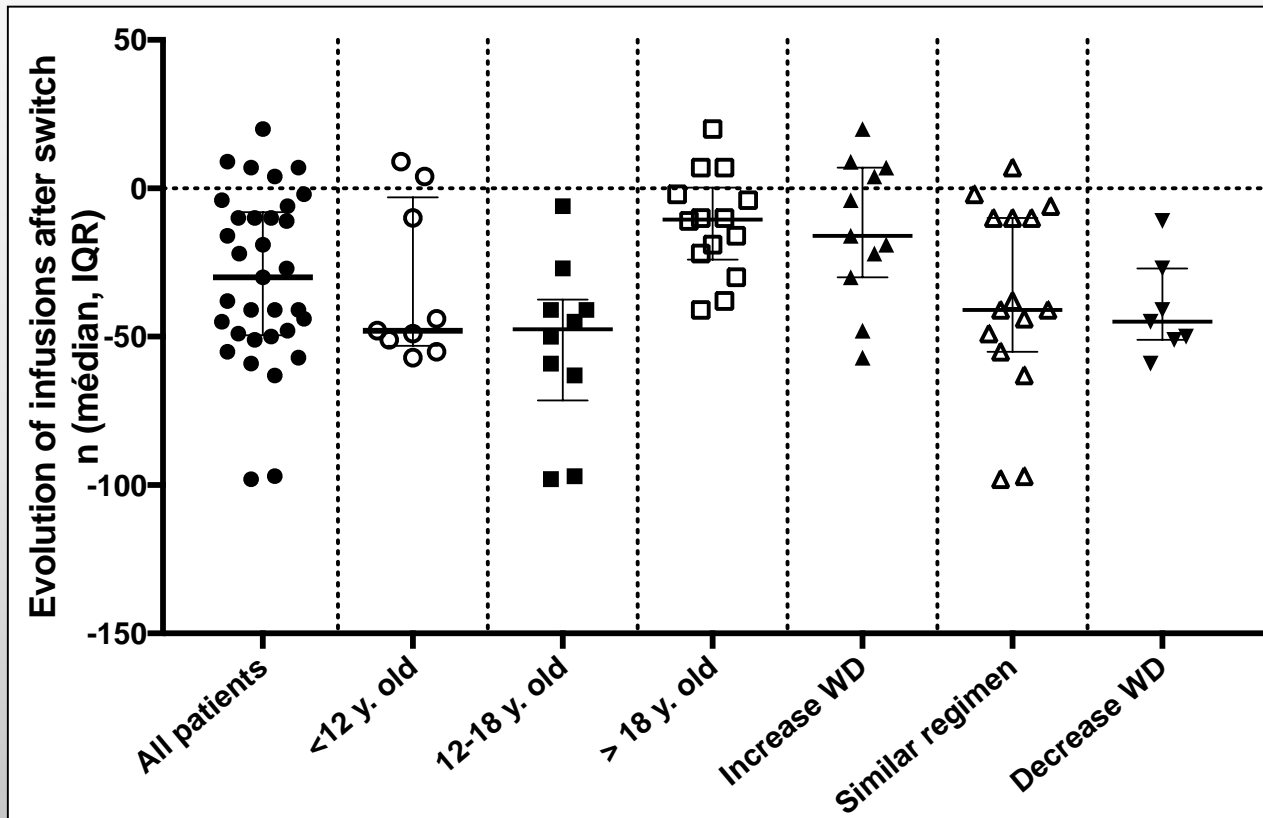
-46% d'injections curatives



- 50% saignements



Economie de 7% (381k€/35 patients)



- **Diminution du nombre annuel d'injection**
 - *La demi-vie du médicament*
 - *Diminution des saignements*

Amélioration de la qualité de vie au quotidien pour le patient

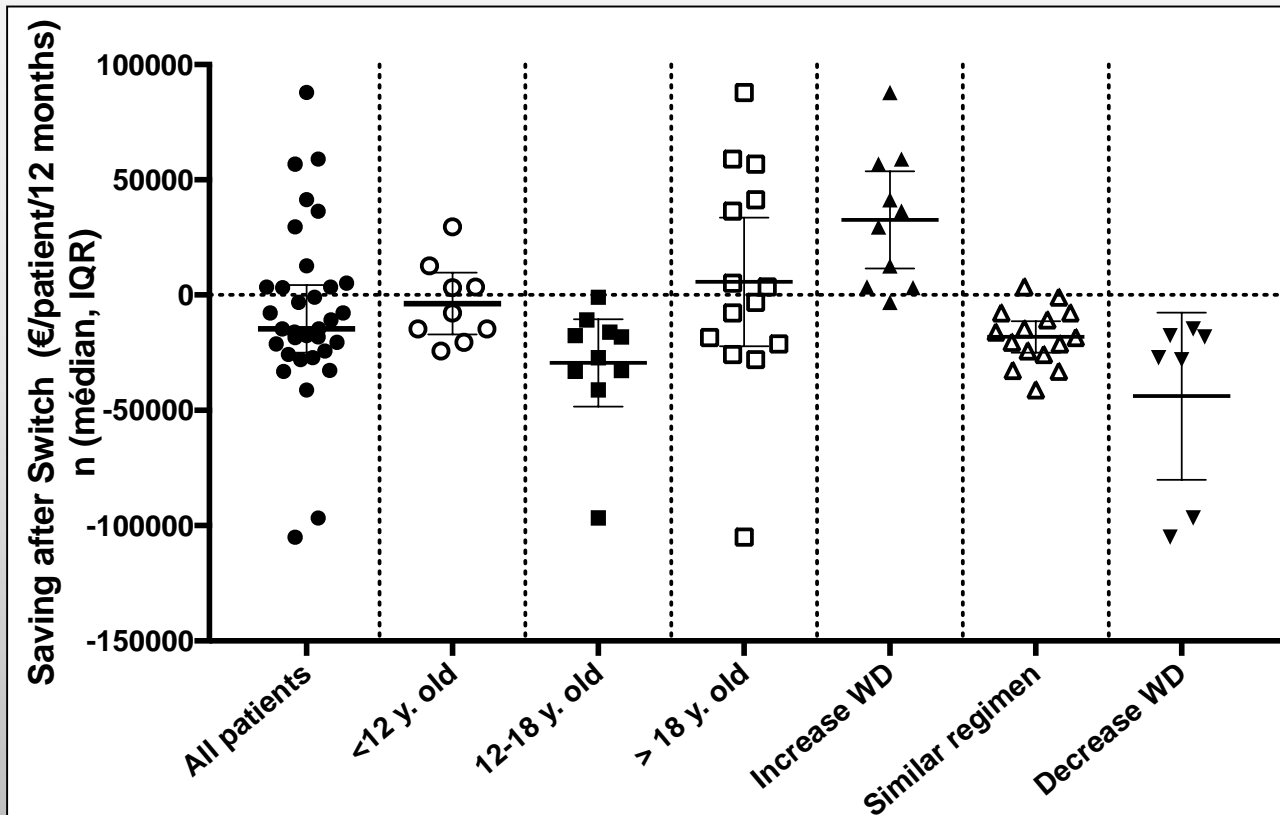
Introduction

Design de l'étude

Résultats

Conclusions

Discussions



Economie non négligeable de 381k€

➤ **Cliniques :**

- ✓ *Diminution du nombre de saignements*
- ✓ *Diminution de la consommation de facteur VIII*
- ✓ *Diminution du nombre d'injections (curatives et prophylactiques)*

➤ **Economie :**

- ✓ *Economie pour la collectivité de 381k€*
- ✓ *Economie pour l'hôpital de 300k€*

Amélioration de la prise en charge de l'hémophilie A

➤ **Perspectives :**

- ✓ *Mise en place de l'évaluation de la qualité de vie (questionnaire adapté)*
- ✓ *Mise sur le marché très récemment de l'émicizumab (HEMLIBRA®) :*
 - *Indiqué en prophylaxie chez les hémophile A avec inhibiteurs (**SMR important et ASMR II**)*
 - *AMM en prophylaxie chez les hémophiles A sévères (en attente de l'avis de la commission de transparence et du prix de remboursement)*
 - *1 injection sous-cutanée / semaine*

MERCI DE VOTRE ATTENTION