



Projection de l'impact d'un accès retardé à l'elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor pour les personnes atteintes de mucoviscidose

Auteurs:

Sanja Stanojevic^{1,2}, Katarina Vukovojac¹, Jenna Sykes³, Felix Ratjen^{1,2,4}, Elizabeth Tullis^{2,3,5}, Anne L. Stephenson^{2,3,5,6}

Affiliations:

1. Translational Medicine, Hospital for Sick Children, Canada; 2. University of Toronto, Canada; 3. Adult Cystic Fibrosis Program, Division of Respiriology, St. Michael's Hospital, Canada; 4. Respiratory Medicine, Hospital for Sick Children, Canada; 5. Li Ka Shing Knowledge Institute, St. Michael's Hospital, Canada; 6. Institute of Health Policy, Management and Evaluation, University of Toronto, Canada.

Quelle était la question posée par votre recherche?

Dans l'avenir proche, quel sera l'impact de l'elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor (Trikafta™) sur les besoins en soins de santé des personnes atteintes de mucoviscidose ? Si Trikafta™ était disponible maintenant, combien d'hospitalisations et de décès pourraient être évités d'ici 2030? Que se passera-t-il s'il y a un retard dans l'approbation de Trikafta™?

Pourquoi cela est-il important ?

Elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor (Trikafta™) est un nouveau traitement de la mucoviscidose qui corrige le défaut protéique sous-jacent. Durant les essais cliniques, il a amélioré la fonction pulmonaire et réduit les hospitalisations pour infections pulmonaires. Plus de 90% des personnes atteintes de mucoviscidose pourraient bénéficier de Trikafta, et cette nouvelle thérapie pourrait changer profondément les caractéristiques et les besoins en soins de santé des personnes atteintes de mucoviscidose. Pour le moment, Trikafta™ est encore indisponible dans de nombreux pays, en particulier au Canada. Prévoir l'impact de Trikafta™ pour les personnes vivant avec la mucoviscidose peut permettre de mieux comprendre leurs besoins à long terme et d'anticiper la demande de futurs services et ressources de soins de santé.

Qu'avez-vous réalisé ?

Notre étude a utilisé une technique appelée microsimulation pour prédire ce qui pourrait arriver aux Canadiens atteints de mucoviscidose en 2030. Nous avons utilisé les données du Registre canadien de la mucoviscidose, une base de données complète de presque tous les Canadiens atteints de la maladie. Les modèles de prévision ont examiné trois scénarios clés: (1) si Trikafta™ n'était pas disponible au Canada (2) si Trikafta™ était disponible en 2021 (accès rapide) et (3) si l'accès à Trikafta™ était retardé jusqu'en 2025 (accès retardé).

Qu'avez-vous constaté?

Nos résultats montrent que l'introduction précoce de Trikafta™ entraînerait une diminution de 60% du nombre de personnes souffrant d'atteintes pulmonaires sévères, une augmentation de 18% du nombre de personnes avec atteintes pulmonaires légères, et une diminution de 19% du nombre d'hospitalisations ou de cures par intraveineuse à domicile pour cause d'infections pulmonaires d'ici à 2030, par rapport au scénario où aucun médicament n'est disponible. Si l'accès à Trikafta™ est retardé, ces améliorations de l'état de santé des malades seront considérablement réduites sur tous les plans. Par conséquent, un accès retardé à ce médicament efficace se traduirait par des coûts de soins de santé, voire des décès, évitables.

Quelle signification ont ces résultats et quelles précautions d'interprétation sont nécessaires ?

Les modèles de prévision ne sont pas censés être interprétés littéralement pour prédire l'avenir. Cette recherche fournit un résumé de l'impact probable des nouvelles thérapies par rapport aux tendances actuelles. Nous avons travaillé avec différentes hypothèses sur les améliorations attendues de la fonction pulmonaire et des infections pulmonaires, et nos résultats dépendent de ces hypothèses.

Et la suite?

Au fur et à mesure que de nouvelles informations deviennent disponibles, ces prévisions devront être mises à jour pour mieux refléter l'état de l'art.