



Taux de prescription d' Orkambi® au cours des 18 mois suivant l'Autorisation de mise sur le marché aux états unis

Auteurs :

Gregory S. Sawicki, Aliza K. Fink , Michael S. Schechter , Deena R. Loeffler , Nicole MayerHamblett

Affiliations:

- 1) Division of Respiratory Diseases, Boston Children's Hospital, Boston, Massachusetts
- 2) Cystic Fibrosis Foundation, Bethesda MD
- 3) Children's Hospital of Richmond at Virginia Commonwealth U., Richmond, VA
- 4) Departments of Biostatistics and Pediatrics, University of Washington, Seattle, WA

Quelle était la problématique de votre recherche?

Nous voulions déterminer quelles étaient les caractéristiques des patients atteints de mucoviscidose portant les deux allèles delta F508 à qui avait été prescrit Orkambi®(lumacaftor-ivacaftor) suite à l'AMM (autorisation de mise sur le marché) de la FDA (Food and Drug Administration) pour les 12 ans et plus en 2015 puis les 6-11 ans en 2016.

Pourquoi est-ce important?

Les modulateurs de CFTR sont le premier groupe de thérapies développé pour cibler le défaut protéique dans la mucoviscidose. Près de la moitié des patients atteints de mucoviscidose ont les deux allèles de la mutation Delta F508 et pourraient bénéficier de la thérapie par Orkambi®. Les prescriptions suite à l'autorisation de mise sur le marché d'Orkambi® peuvent varier en fonction du clinicien, du système de soins, et du facteur patient.

Quels sont les travaux réalisés?

Après avoir identifié les personnes éligibles au traitement par Orkambi® (ceux ayant deux copies Delta F508) depuis la base de données patient de la CF Foundation, nous avons exclu ceux ayant eu une greffe ou ayant reçu Orkambi® durant les essais cliniques.

Nous avons ensuite effectué trois comparaisons dans un groupe de 10 500 personnes :

- 1) Les patients de 12 ans et plus ayant une prescription d'Orkambi® comparés à ceux n'en ayant pas,

- 2) Pour ceux avec une prescription, ceux ayant reçu le traitement dans les six mois après l'AMM par rapport à ceux l'ayant reçu l'année suivante,
- 3) Les patients plus jeunes (6 à 12 ans) ayant une prescription par rapport à ceux n'en ayant pas.

Nous avons essayé de déterminer si les différences s'expliquaient par les types d'assurances santé, la région de domiciliation aux Etats-Unis, d'autres traitements de la mucoviscidose et la taille du centre de traitement de la mucoviscidose fréquenté.

Qu'avez-vous découvert?

Le taux de prescription d'Orkambi® était plus bas que pour l'Ivacaftor, en particulier chez les jeunes enfants. Environ la moitié (53%) des patients éligibles avaient eu une prescription, avec des différences liées aux pratiques cliniques, à l'environnement social, aux régions de domiciliation et aux assurances santé. Les facteurs favorisant la prescription pour les enfants jeunes et plus vieux incluaient le type d'assurance, le lieu de résidence, la prescription d'azythromycine/ mucolytiques, et la fréquentation de centres plus petits. Les 12 ans et plus avec une prescription dans les six mois suivant l'AMM avaient des atteintes plus sérieuses, plus de participations aux essais cliniques, participaient à des programmes pédiatriques et avaient des antibiotiques inhalés prescrits. Les 6 à 12 ans recevant Orkambi® avaient davantage tendance à avoir de l'azithromycine et de la dornase alpha prescrits ainsi qu'une assurance privée.

Que cela signifie t'il et pourquoi faut-il rester prudent?

La base de données patients ne permet pas de savoir si les médicaments sont dispensés (en pharmacie) ou consommés, donc on ignore si les patients ont pris Orkambi® tel qu'il était prescrit. Le coût élevé des modulateurs de la protéine CFTR pourrait affecter les tendances de prescriptions ou son accès en fonction des assurances santé. Quelques erreurs de documentation ou d'informations manquantes dans la base de données, quoique peu fréquentes, pourraient entraîner une sous-estimation de la prise de ce médicament.

Quelles sont les perspectives?

Les registres patients sont d'importantes sources de données pour explorer à plus long terme l'utilisation réelle des thérapies modulant la protéine CFTR. Des études supplémentaires sur l'efficacité et la sécurité à long terme permettront de répondre ou d'ajouter aux inquiétudes des cliniciens et des patients atteints de mucoviscidose éligibles pour ce traitement.

Lien vers l'article complet:

[https://www.cysticfibrosisjournal.com/article/S1569-1993\(18\)30755-0/fulltext](https://www.cysticfibrosisjournal.com/article/S1569-1993(18)30755-0/fulltext)