

SYNTHÈSE

Dispositif d'assistance circulatoire mécanique (DACM) de longue durée

Actualisation des conditions de prise en charge

Validée par la CNEDIMTS le 22 juin 2021

L'essentiel

- ➔ L'analyse des données montre que les patients implantés en France ont un profil plus sévère par rapport aux patients issus des autres rapports de suivi européens et nord-américains. Leur survie sur le long terme reste néanmoins relativement similaire à celle rapportée dans les autres registres ;
- ➔ Une « sous-utilisation » française persistante de cette technologie est également mise en évidence vis-à-vis d'autres pays avec notamment une implantation du DACM plus tardive en termes de profil de gravité ;
- ➔ Plusieurs pistes d'amélioration ont été proposées à travers ce rapport pour permettre d'optimiser la filière de prise en charge des patients insuffisants cardiaques en France :
 - le renforcement de la prise en charge multidisciplinaire en donnant toute leur importance aux « *Heart team* », spécialisées dans le choc cardiogénique ;
 - l'implication d'un personnel soignant qualifié tel que les IDE coordinateur(ice)s ou bien les perfusionnistes dans le parcours de soins des patients implantés pour renforcer le lien entre la ville et l'hôpital ;
 - la poursuite de l'EPI FRANCEMACS pour le suivi de l'efficacité et la sécurité (AVC, décès, infections) des DACM en pratique réelle avec notamment l'obtention de données sur le retour à domicile des patients et la qualité de vie. La réalisation de cette étude via l'intermédiaire du Système National des Données de Santé peut être envisagée afin de renforcer l'exhaustivité des données recueillies. ;
 - la possibilité pour les dispositifs d'assistance monoventriculaire gauche d'être implantés chez les patients âgés 70 ans ou plus, en l'absence de comorbidités associées ;
 - pas de remise en cause des indications retenues en 2008 ;
 - pas de remise en cause des exigences en termes de données cliniques attendues pour une demande de renouvellement ;
 - pour l'inscription de nouveaux DACM, la CNEDIMTS attend la présentation de données comparatives spécifiques.
- ➔ La population rejointe actuelle est comprise entre 200 et 250 cas par an, tout type de DACM confondus ;
- ➔ La population cible des DACM est comprise entre 780 et 4 120 patients par an.

Contexte

Les DACM de longue durée d'utilisation (≥ 30 jours) sont des dispositifs médicaux implantables actifs destinés à suppléer une défaillance majeure de la pompe cardiaque. Dans les situations d'insuffisance cardiaque avec une défaillance aiguë ou chronique évoluée engageant le pronostic vital, ces dispositifs sont utilisés soit pour une période temporaire en attente de transplantation ou en attente de récupération myocardique (rare), soit en thérapie définitive (pour les patients non éligibles à la transplantation).

L'évaluation réalisée par la HAS en 2008 ayant conclu au service suffisant de ces dispositifs avec une amélioration du service attendu majeure (ASA de niveau I) par rapport à l'absence d'alternative, ces dispositifs ont été inscrits pour une prise en charge par l'assurance maladie, dans les indications suivantes :

- en situation aiguë : défaillance aiguë mono ou bi ventriculaire chez l'insuffisant cardiaque, non contrôlée par un traitement optimal, en l'absence d'alternative thérapeutique conventionnelle (médicamenteuse et/ou interventionnelle et/ou chirurgicale) ;
- en situation élective : insuffisance cardiaque chronique évoluée avec défaillance mono ou bi ventriculaire, lorsque la vie est menacée malgré un traitement optimal, et au terme d'une concertation pluridisciplinaire.

En parallèle, l'identification de données manquantes a conduit à la mise en place d'une étude dans les conditions réelles d'utilisation, avec un protocole national commun de suivi prospectif et exhaustif de toutes les implantations de DACM. Les objectifs étaient de connaître le nombre d'implantations, les caractéristiques de l'ensemble des patients implantés, les données d'efficacité et de sécurité et les données de qualité de vie.

Durant les 10 dernières années, l'arsenal des DACM disponibles a largement évolué, avec pour objectif de chercher à améliorer la fiabilité des dispositifs, faciliter l'implantation des dispositifs, et réduire les risques de complications. Tous les progrès technologiques réalisés ayant pour objectif ultime faire progresser la durée de survie des patients et améliorer leur qualité de vie, ont ainsi conduit au développement des dispositifs intracorporels monoventriculaires à flux continu, utilisable y compris en thérapie définitive, au détriment des dispositifs paracorporels à flux pulsatile plus volumineux, limités aux situations en attente de transplantation ou de récupération.

L'augmentation du nombre de patients implantés a aussi permis de développer l'expertise des équipes médicales et chirurgicales, dans la sélection, l'implantation et le suivi des patients. La mise en place de nouvelles règles d'attribution des greffons cardiaques (score cœur) en 2017 par l'Agence de la Biomédecine a également modifié le poids des assistances cardiaques mécaniques dans le calcul du niveau de priorité, avec un impact potentiellement significatif sur le taux de recours aux DACM pour les patients en attente de transplantation. Ainsi, les patients sous ECMO (*extra corporeal membrane oxygenation*), qui est une assistance circulatoire de courte durée, gagnent des points au score de répartition des greffons, et les patients sous assistance circulatoire de longue durée bénéficient de dérogations.

Objectif

Cette actualisation doit permettre de faire le bilan après 10 ans de prise en charge nationale des DACM selon les conditions proposées par la CNEDIMTS. Cette vision globale de l'ensemble des DACM en pratique clinique permettra d'adapter, autant que de besoin, les conditions de prise en charge de cette catégorie de dispositif en France.

Méthode

La méthodologie choisie a suivi les étapes suivantes :

- Revue systématique de la littérature (évaluations technologiques, méta-analyses, ERC, études cliniques prospectives, registres nationaux ou internationaux, recommandations professionnelles) ;
- Analyse des résultats des études post-inscriptions issues du registre FRANCEMACS ;
- Analyse des résultats issus de la pratique courante française et de l'activité des centres, par la préparation, l'extraction, la validation et l'analyse des données du PMSI, à partir de la base DIAMANT ;
- Implication des parties prenantes et prise en compte de leur positionnement (Agence de la Biomédecine, CNP de Chirurgie Thoracique et Cardio-vasculaire, de Cardiovasculaire et d'Anesthésie-Réanimation et Médecine Péri-Opératoire, associations de patients) ;

Un rapport d'évaluation a été rédigé pour permettre à la CNEDIMTS de mettre à jour, autant que de besoin les indications, les conditions de prise en charge, la stratégie thérapeutique, les données épidémiologiques et la population cible concernée par ce type de DM.

Résultats

Même si la comparaison des données françaises, issues du registre FRANCEMACS, avec les données européennes et internationales doit être réalisée avec prudence, en raison de l'hétérogénéité des populations de patients inclus et des nombreux biais liés à la méthodologie, plusieurs observations peuvent être faites.

La première concerne l'extrême sévérité des patients français au moment de l'implantation des DACM. La majorité d'entre eux présentent des profils de gravité critiques (INTERMACS 1 et 2) associés à de nombreux antécédents et comorbidités. La principale conséquence est une mortalité péri-opératoire importante, avec un taux de décès d'environ 40% dans les 3 premiers mois.

En revanche, les données d'efficacité ont également montré que les patients français implantés avaient des taux de survie comparables aux patients issus des autres registres. Les résultats du registre FRANCEMACS rapportent un taux de survie d'environ 50% à 1 an et des taux de transplantation compris entre 30 et 60% en fonction de la stratégie thérapeutique adoptée.

Propositions de conditions de prise en charge des DACM actualisées

Indications et contre-indications

Dans le cadre de l'implantation d'un DACM dans une indication de situation élective, la CNEDIMTS souhaite que le niveau de gravité INTERMACS soit précisé pour les patients en insuffisance cardiaque chronique évoluée avec défaillance mono ou bi ventriculaire, lorsque la vie est menacée malgré un traitement optimal.

Concernant la limitation d'implantation en fonction de l'âge, les données issues des différentes études montrent que des patients âgés de 70 ans ou plus, ont été implantés avec une assistance monoven-triculaire gauche avec des résultats favorables en termes d'efficacité et de sécurité. Ainsi, la possibilité d'implanter un patient âgé de 70 ans ou plus devrait être soumise à une décision prise au terme d'une

concertation pluridisciplinaire, et d'une réflexion intégrant un avis issu d'un comité d'éthique, afin de sélectionner les seuls patients pouvant en attendre un bénéfice suffisant.

Concernant les indications d'implantation des assistances monoventriculaires gauches, même si l'implantation de 2 VAD intracorporels n'est aujourd'hui n'est pas recommandée, certaines données ont mis en évidence l'implantation de VAD dans cette configuration. Dans la perspective d'une évaluation de cette pratique, une revendication de cette indication devra être documentée par des données cliniques, spécifiques au dispositif concerné.

Pour les deux situations précédentes, susceptibles de conduire à l'actualisation des indications d'implantation des DACM, la nécessité d'un recueil des données en vie réelle permettant de documenter la sécurité et l'efficacité demeure indispensable.

Centres

Les centres agréés pour la greffe cardiaque, avec expérience et compétence d'implantation de DACM de longue durée sont actuellement catégorisés en tant que centres de Niveau 1. La consultation des parties prenantes a montré que ces centres étaient en mesure de répondre aux besoins actuels sur le territoire national pour la prise en charge des patients en insuffisance cardiaque avancée.

Il est donc nécessaire que ces centres planteurs de DACM de longue durée puissent maintenir le renseignement de données sur l'activité d'implantation en France, notamment en termes de retour à domicile et sur la qualité de vie.

D'autres part, l'implication d'un personnel soignant qualifié tel que les IDE coordinateur(ice)s ou bien les perfusionnistes dans le parcours de soins des patients implantés semble être aujourd'hui indispensable pour renforcer le lien entre la ville et l'hôpital, notamment dans le cadre de l'attente de greffe. Des expérimentations déjà menées dans différents centres en France ont montré des résultats positifs et sont appuyés par les parties prenantes consultées.

Enfin, dans le cadre de l'optimisation du parcours de soins de l'insuffisance cardiaque au sein de ces centres, une place prépondérante doit être donnée à l'implication des « *Heart team* » pour l'implantation de ces DACM. Le profil multidisciplinaire de ces équipes de soins, en incluant au moins un chirurgien cardiaque, un cardiologue spécialisé dans la prise en charge de l'insuffisance cardiaque et un anesthésiste réanimateur doit permettre d'assurer une prise en charge spécialisée pour ces situations toujours complexes.

Données minimales exigibles pour toute future demande de remboursement en nom de marque

La réévaluation des conditions de prise en charge des DACM a permis d'actualiser les données de ces dispositifs en termes d'efficacité et de sécurité avec un suivi dans le temps et un nombre de patients inclus conséquent. Au vu de ces données, la CNEDIMTS a actualisé ses attentes en termes de données à fournir :

➔ Pour les nouveaux dispositifs d'assistance circulatoire mécanique

Pour l'inscription de nouveaux DACM sur la LPPR, la CNEDIMTS attend la présentation de données comparatives spécifiques, avec un nombre minimum de 50 patients implantés, par rapport à un DACM déjà inscrit sur la LPPR. Un suivi minimum de 12 mois pour chaque patient et un critère clinique (taux de succès défini *a priori*) comme critère de jugement principal sera nécessaire l'évaluation de l'efficacité du dispositif.

Dans les cas particuliers où la réalisation d'études comparatives n'est pas possible, une analyse par rapport à une cohorte historique pourra être envisagée.

➔ Pour les dispositifs d'assistance circulatoire mécanique déjà pris en charge sur la LPPR

Une actualisation des données est attendue pour les futures demandes de renouvellement. Dans ce sens, la poursuite de l'EPI FRANCEMACS qui est souhaitée par les CNP sollicités est soutenue par la CNEDIMTS.

Le maintien de ce suivi permettra de répondre aux attentes de la CNEDIMTS concernant l'efficacité et la sécurité (AVC, décès, infections) des DACM en pratique réelle avec notamment l'obtention de données sur le retour à domicile des patients et la qualité de vie. La réalisation de cette étude via l'intermédiaire du Système National des Données de Santé (SNDS) peut être envisagée afin de renforcer l'exhaustivité des données recueillies. Les données obtenues à l'issue de cette étude pourront également permettre de renseigner pour chaque centre un seuil d'activité pour l'implantation de DACM.

Population rejointe

Les données issues de l'analyse du PMSI montrent une fluctuation du nombre d'implantations annuelles avec un nombre de patients implantés avec un DACM entre 2015 et 2019, compris entre 208 et 245 patients suivant les années. Cela représente une augmentation de près de 200 % du nombre de patients implantés sur les 20 dernières années.

Population cible

Les statistiques américaines (AHA) rapportent que 6,2 millions d'américains sont atteints d'insuffisance cardiaque. Entre 100 000 et 250 000 patients auraient une insuffisance cardiaque en phase terminale réfractaire aux thérapies standards sans précision de l'âge.

Ainsi d'après ces données américaines, on peut estimer qu'entre 1,6 % et 4 % des patients en insuffisance cardiaque seraient potentiellement candidats à l'implantation puisqu'en situation d'insuffisance cardiaque non contrôlée par le traitement optimal. En appliquant ces taux à la population française d'insuffisants cardiaques, estimée entre 49 000 et 103 000, l'estimation du nombre de nouveaux patients susceptibles d'être implantés d'un DACM est comprise entre 780 et 4 120 cas par an.

Ce calcul est présenté avec certaines réserves dues à un recours différent à l'ECMO et à la greffe dans la pratique américaine par rapport à la France.