

Rapport de données extraites du SNDS pour l'accès précoce

Loargys période : 2022-02-19 au 2024-12-31

Date de création du rapport: 2025-04-10

D'après les données du SNDS extraites par la HAS (voir note courte HAS Exploitation des données du SNDS), et sur la période du 2022-02-19 au 2024-12-31, **12 patients** ont été traités par la spécialité Loargys dans l'indication (CPEGZ01) *Traitement du déficit en arginase 1 (ARG1-D), également connu sous le nom d'hyperargininémie, chez les adultes, les adolescents et les enfants âgés de 2 ans et plus.*

Ce nombre concerne les patients pris en charge dans un établissement hospitalier, à l'exception des patients pour lesquels le traitement a été rétrocédé ou délivré en consultation externe dans un établissement hospitalier privé, et exclusivement dans l'indication de l'accès précoce. Si l'on enrichit cette estimation avec les rétrocessions privées et délivrances en consultation externe privées, ainsi qu'avec les dispensations hospitalières en accès précoce dont l'indication est inconnue, le nombre de patients traités par la spécialité Loargys est au maximum de **14**.

Ces données ont été extraites le 2025-04-10 et restent des estimations compte tenu des limites identifiées à l'exploitation du SNDS pour cet usage et des versements infra-annuels des données du PMSI dans le SNDS, qui ne sont consolidées qu'en juillet de l'année suivante. **Le PMSI pour l'année 2024 est scellé uniquement à partir du mois de juillet 2025.**

NB: Une dispensation correspond à la délivrance du médicament à un patient à une date donnée, quelque soit la quantité du médicament.

Remarque sur les petits effectifs: Les petits effectifs (<10) sont masqués pour des raisons de confidentialité. Les totaux sont en revanche préservés. Par conséquent, les totaux peuvent ne pas correspondre à la somme des effectifs affichés.

Nombres de patients et de dispensations concernés

Nombres de patients et de dispensations par mois

Plusieurs estimations sont présentées (cf. annexe en fin de document pour les détails sur les sources de données utilisées):

- **TOT_DCIR** : Cette estimation prend en compte toutes les dispensations du médicament cible, peu importe l'indication. A noter que dans le cas où le médicament a plusieurs indications, cette estimation peut être très supérieure à celle portant uniquement sur l'indication demandée (IND_BAS).
- **IND_BAS** : Cette estimation dite « basse » prend en compte uniquement les dispensations du médicament cible dans l'indication demandée (rétrocessions ou délivrances en consultation externe dans un établissement privé non prises en compte).
- **IND_HAUT** : Cette estimation dite « haute » prend en compte les dispensations du médicament cible dans l'indication demandée et dans les autres indications du médicament inconnues du référentiel. En d'autres termes, cette estimation exclut les dispensations dans toutes les indications connues du référentiel autres que l'indication demandée (rétrocessions ou délivrances en consultation externe dans un établissement privé non prises en compte).

- *IND_MAX* : Cette estimation prend en compte les dispensations du médicament cible dans l'indication demandée et dans les indications inconnues du référentiel (idem *IND_HAUT*), ainsi que les rétrocessions et délivrances en consultation externe dans un établissement privé (toutes indications).

Estimations du nombre de patients distincts et de dispensations du médicament Loargys par source de données sur la période 2022-02-19 / 2024-12-31.

Table 1: Nombre de patients distincts et de dispensations par source de données

source	Nombre de patients	Nb de dispensations
TOT_DCIR	14	115
IND_BAS	12	105
IND_HAUT	14	117
IND_MAX	14	117

Graphiques des nombres de patients distincts du médicament Loargys par mois sur la période 2022-02-19 / 2024-12-31.

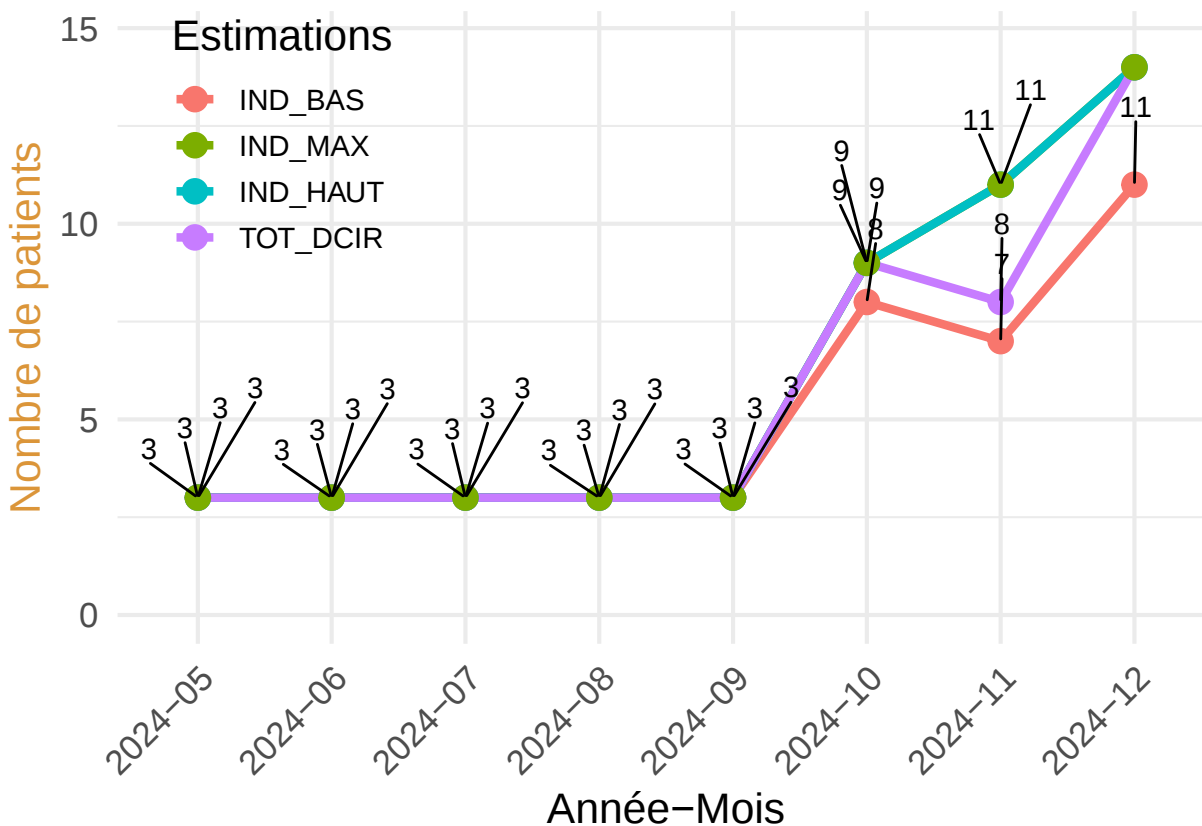


Figure 1: Nombre de patients distincts par mois

Caractéristiques de la population

Les données restituées sur la population proviennent de l'estimation **IND_BAS**.

Circuit de dispensations

Table 2: Nombre de patients et de dispensations par type de circuit. Les petits effectifs (<10) sont masqués pour des raisons de confidentialité.

Variable	Modalités	Nombre de patients	Nombre de dispensations
Type de dispensation	Hospitalisation	10	93
Total		12	105

Catégorie d'établissements

Les chiffres suivants présentent le nombre de premières dispensations pour chaque patient dans la période d'étude, par catégorie d'établissements.

Table 3: Catégorie des établissements initiant le traitement. Les petits effectifs (<10) sont masqués pour des raisons de confidentialité.

Catégorie d'établissement	Nb premières dispensations
Centre Hospitalier Régional (C.H.R.)	10
Total	12

Caractéristiques démographiques des patients

L'âge est donné en années au moment de la première dispensation du médicament en accès précoce.

Age

Nombre de patients

Figure 2: Pyramide des âges. Les petits effectifs (<10) sont masqués pour des raisons de confidentialité.

Comorbidités

Affections longue durée (ALD)

NB: un patient peut avoir plusieurs ALD en cours. Les codes CIM-10 des ALD sont regroupés par famille de diagnostics (sur les trois premiers caractères du code CIM-10).

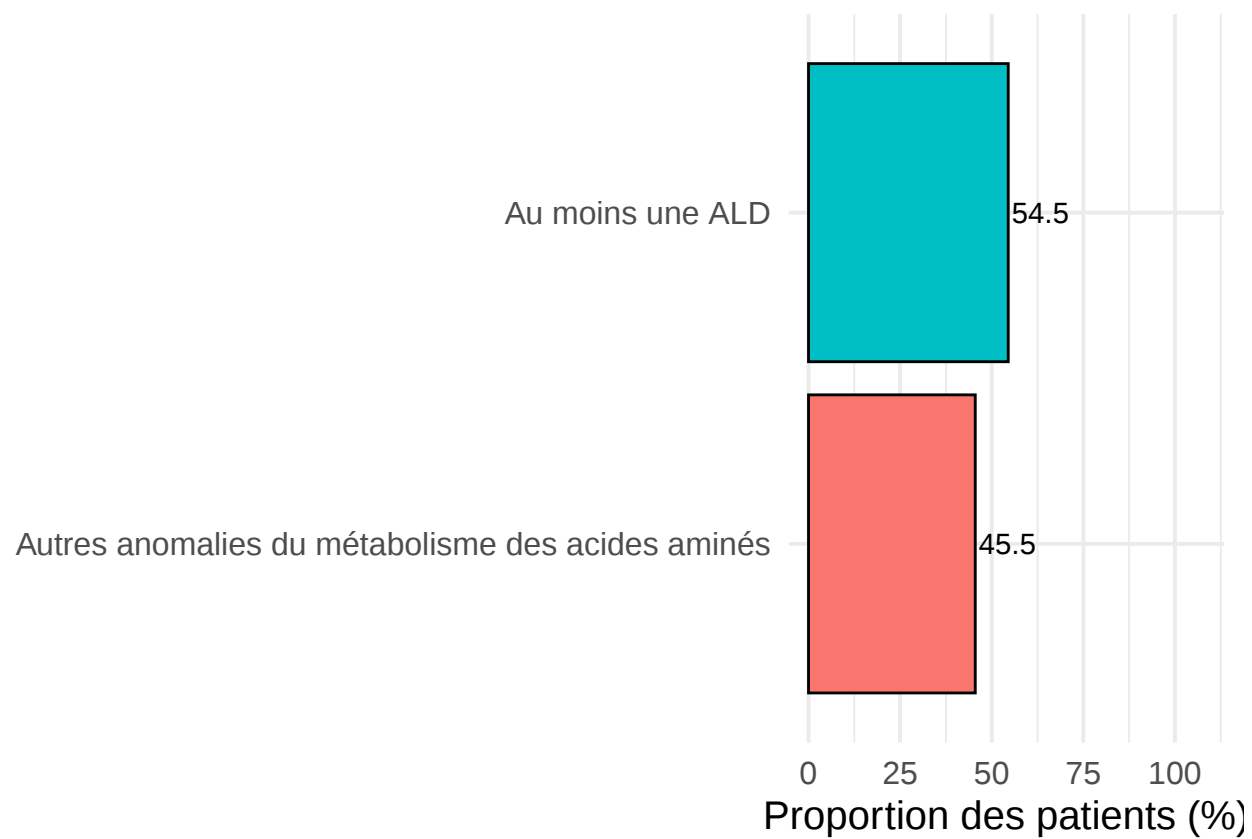


Figure 3: Proportion des patients avec une ALD (pour les ALD avec prévalence $\geq 1\%$)

Prévalence des pathologies sur l'année 2022 (cartographie CNAM)

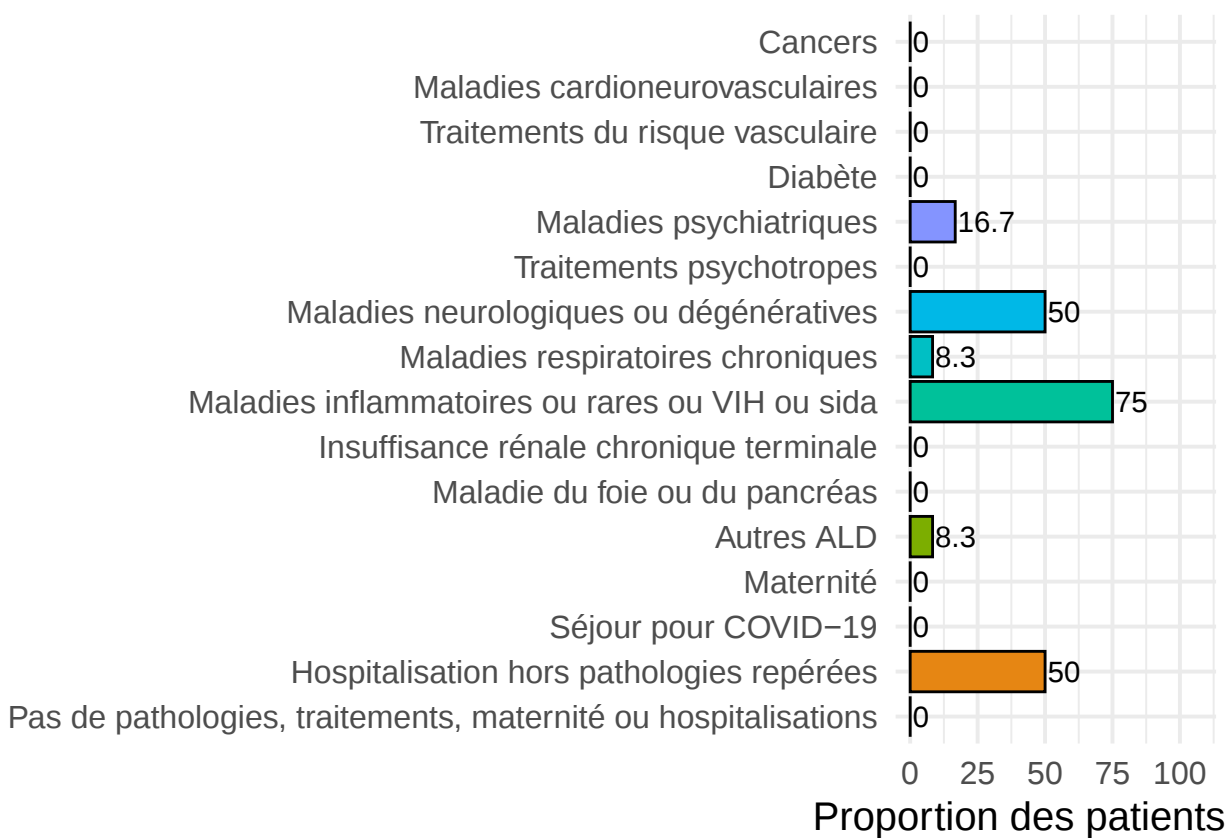


Figure 4: Proportion des patients pour chaque pathologie

La méthodologie utilisée pour identifier ces pathologies est décrite sur le site internet de l'Assurance maladie.

Prévalence des cancers sur l'année 2022 (cartographie CNAM)

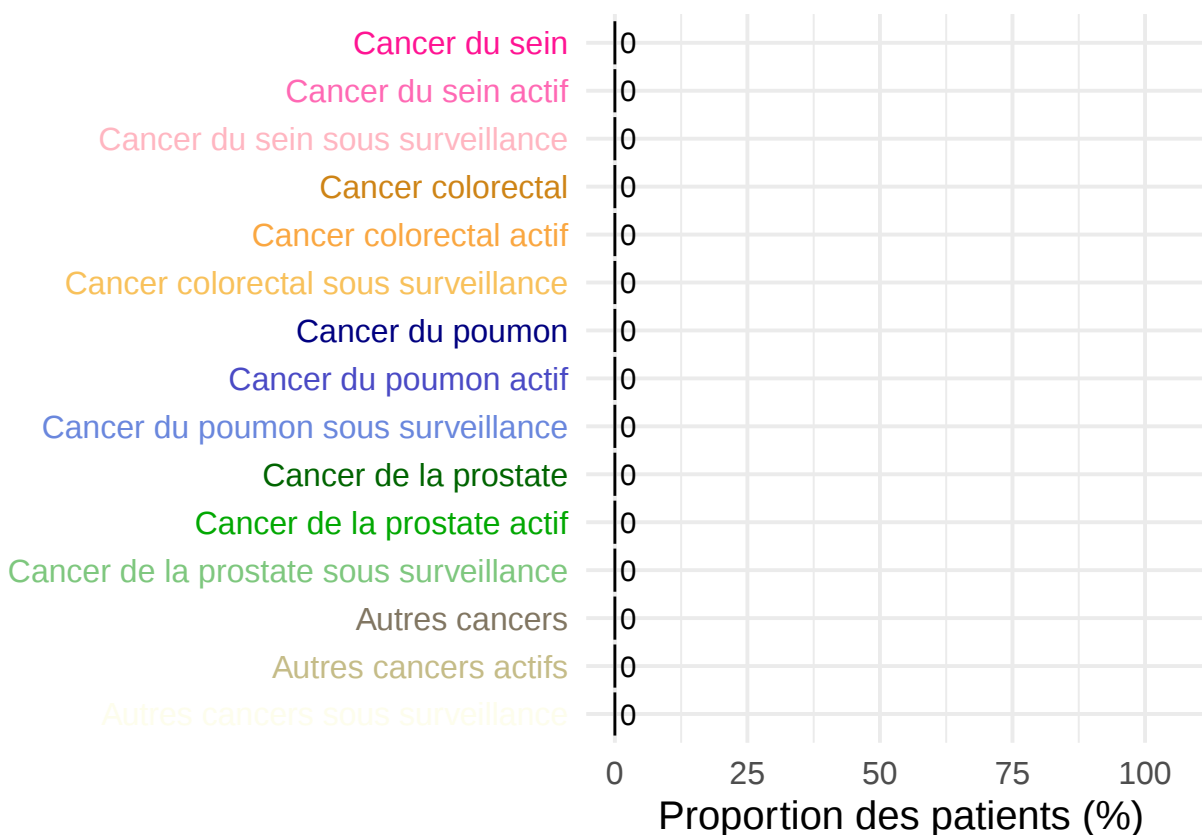


Figure 5: Proportion des patients avec un cancer

Annexe

Nombre de patients estimés selon les sources d'information traitées

Toutes les estimations calculées sont présentées ci-dessous. Celles-ci utilisent des sources de données différentes pour estimer le nombre de patients et de dispensation :

- **IND_BAS** : une estimation basse avec l'indication d'intérêt demandée par l'utilisateur. Les données proviennent uniquement du PMSI car l'indication n'est pas renseignée dans le DCIR (tables MEDAPAC + FH + FHSTC + indication CPEGZ01).
- **IND_HAUT** : une estimation haute avec l'indication d'intérêt et les indications inconnues (non présentes dans le référentiel de l'ATIH). Les données proviennent uniquement du PMSI car l'indication n'est pas renseignée dans le DCIR (tables MEDAPAC + FH + FHSTC + indication CPEGZ01 + indication(s) inconnue(s)).
- **IND_MAX** : une estimation avec l'indication d'intérêt, les indications inconnues (données PMSI, idem IND_HAUT) et les rétrocessions et délivrances en consultation externe ex-OQN du DCIR (tables MEDAPAC + FH + FHSTC + indication CPEGZ01 + indication(s) inconnue(s) + ER_UCD_F toutes indications).
- **TOT_PMSI** : une estimation avec toutes les indications confondues en ne retenant que les données du PMSI (tables MEDAPAC + FH + FHSTC, toutes indications).

- TOT_DCIR : une estimation avec toutes les indications en comptabilisant les dispensations de l'hospitalisation ex-DGF dans le PMSI mais en privilégiant la source DCIR pour les hospitalisations ex-OQN et les rétrocessions ou délivrances en consultation externe ex-DGF ou ex-OQN (tables MEDAPAC + ER_UCD_F, toutes indications).

Un tableau résumant ces champs est disponible sur la page internet de la méthodologie SNDS de ce rapport.

A noter qu'un patient est inclus dans l'estimation basse (IND_BAS) ou haute (IND_HAUT) dès lors qu'il a au moins une dispensation dans l'indication demandée (et/ou dans une indication inconnue pour IND_HAUT), même s'il a également des dispensations du médicament dans une autre indication (connue) que celle demandée.

Table 4: Nombre de patients distincts et de dispensations par source de données.

source	Nombre de patients	Nb de dispensations
TOT_PMSI	14	117
TOT_DCIR	14	115
IND_BAS	12	105
IND_HAUT	14	117
IND_MAX	14	117