

Rapport de données extraites du SNDS pour l'accès précoce NEXVIADYME période : 2023-06-15 au 2024-12-31

Date de création du rapport: 2025-08-12

D'après les données du SNDS extraites par la HAS (voir note courte HAS Exploitation des données du SNDS), et sur la période du 2023-06-15 au 2024-12-31, **106 patients ont été traités** par la spécialité NEXVIADYME dans l'indication (CAVAL01) *le traitement des patients adultes et pédiatriques atteints de la maladie de Pompe (déficit en α -glucosidase acide) en cas d'échec à l' α -glucosidase alfa..*

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 NEXVIADYME est **au maximum de 110**.

Ces données ont été extraites le 2025-08-12 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: Pour des raisons de confidentialité, les petits effectifs (inférieurs ou égaux à 10) sont masqués, ainsi que les graphiques s'y reportant. 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 NEXVIADYME par source de données sur la période 2023-06-15 / 2024-12-31.

Table 1: Nombre de patients distincts et de dispensations par source de données. Les petits effectifs (≤ 10) sont masqués pour des raisons de confidentialité.

source	Nombre de patients	Nb de dispensations
TOT_DCIR	111	3096
IND_BAS	106	2849
IND_HAUT	110	3034
IND_MAX	110	3034

Graphiques des nombres de patients distincts du médicament NEXVIADYME par mois sur la période 2023-06-15 / 2024-12-31.

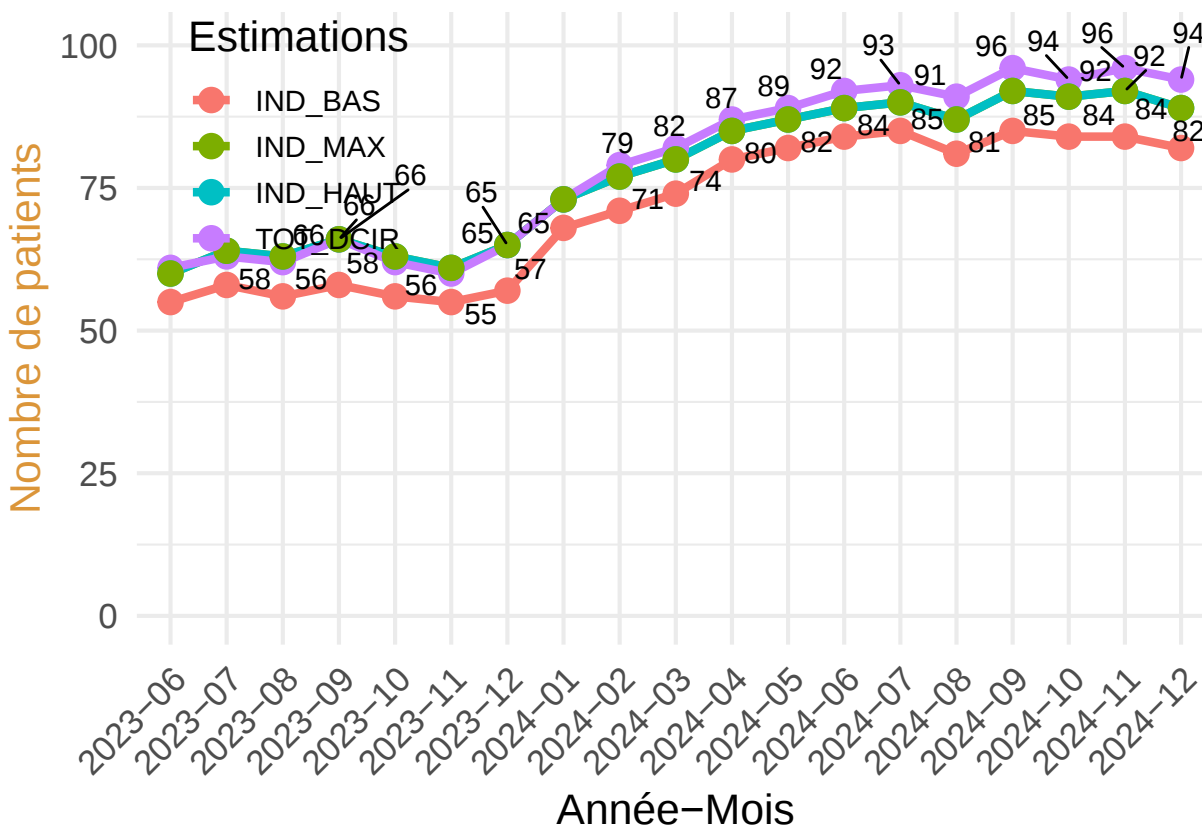


Figure 1: Nombre de patients distincts par mois. Les petits effectifs (≤ 10) sont masqués pour des raisons de confidentialité.

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	104	2777
Total		106	2849

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.)	60
Centre Hospitalier (C.H.)	42
Total	106

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).

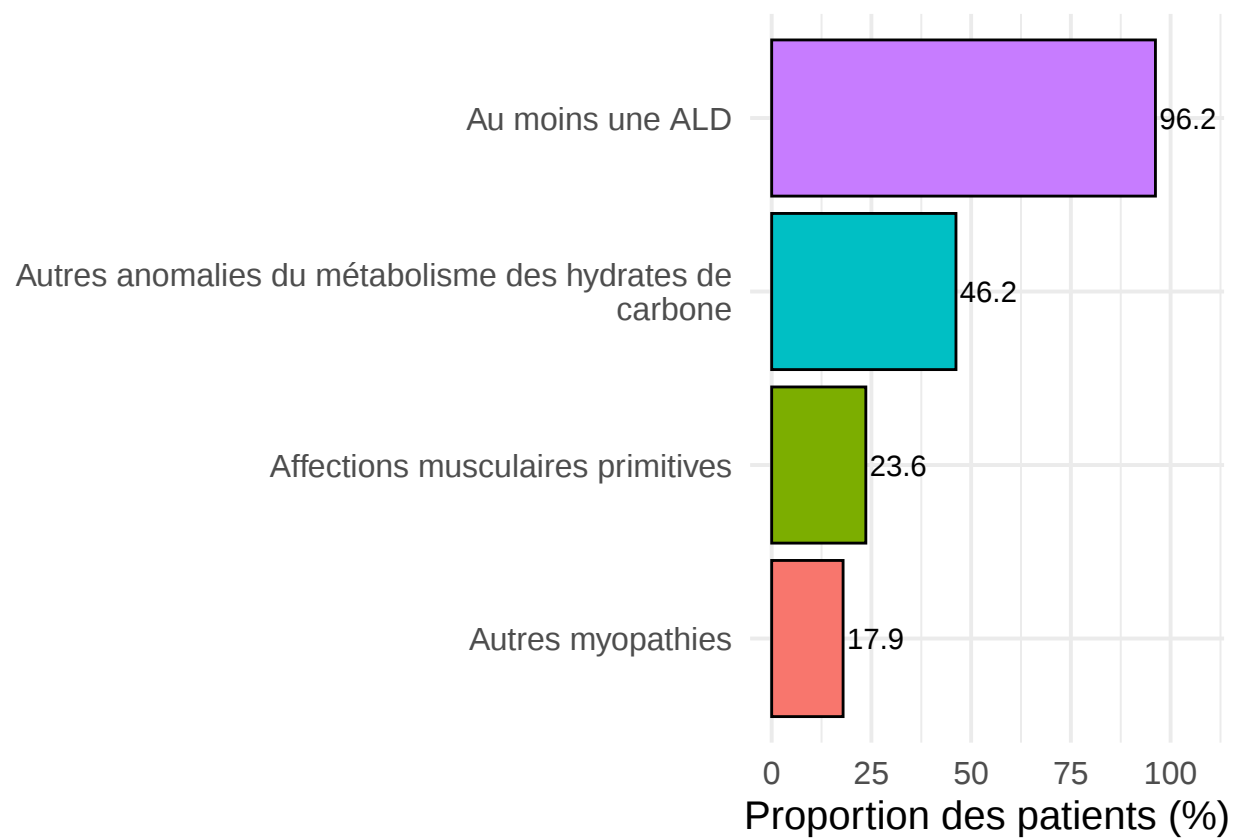


Figure 3: Proportion des patients avec une ALD (pour les ALD avec prévalence $\geq 1\%$ et au moins 11 patients)

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

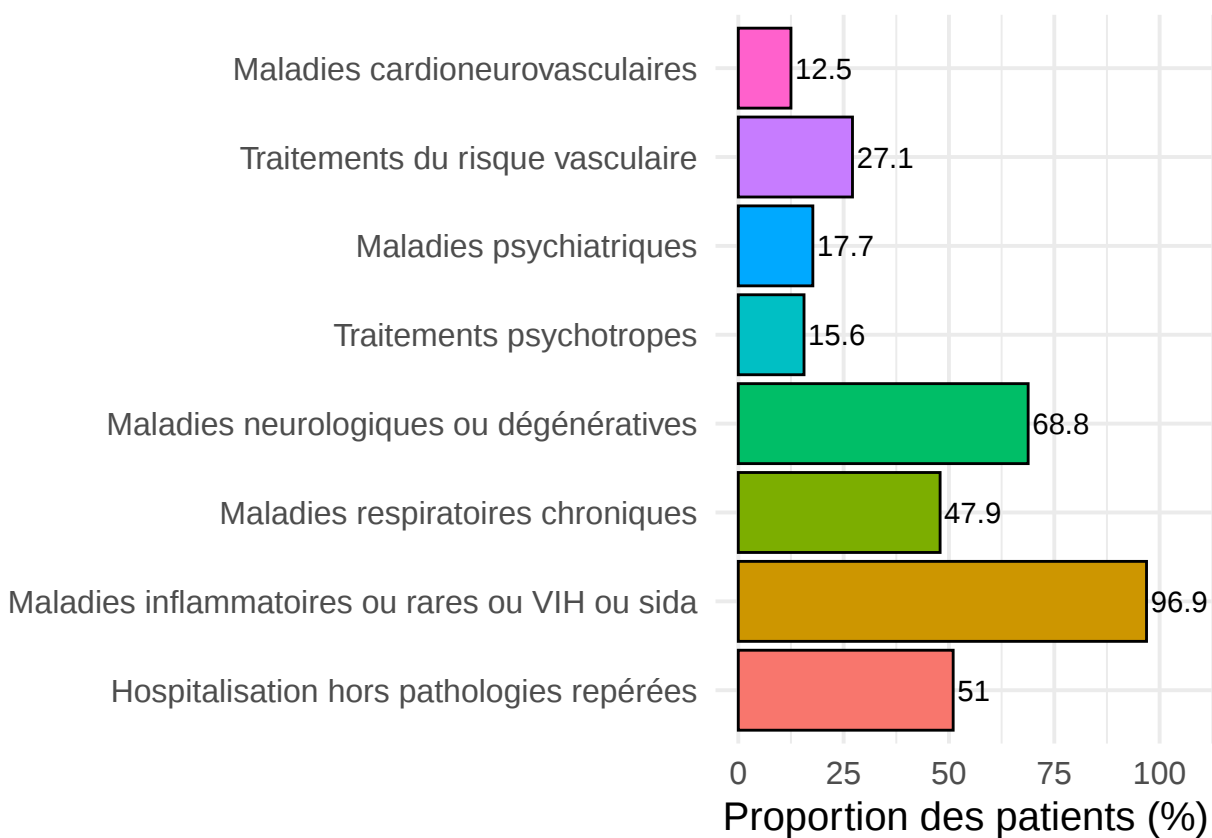


Figure 4: Proportion des patients pour chaque pathologie (avec au moins 11 patients)

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)

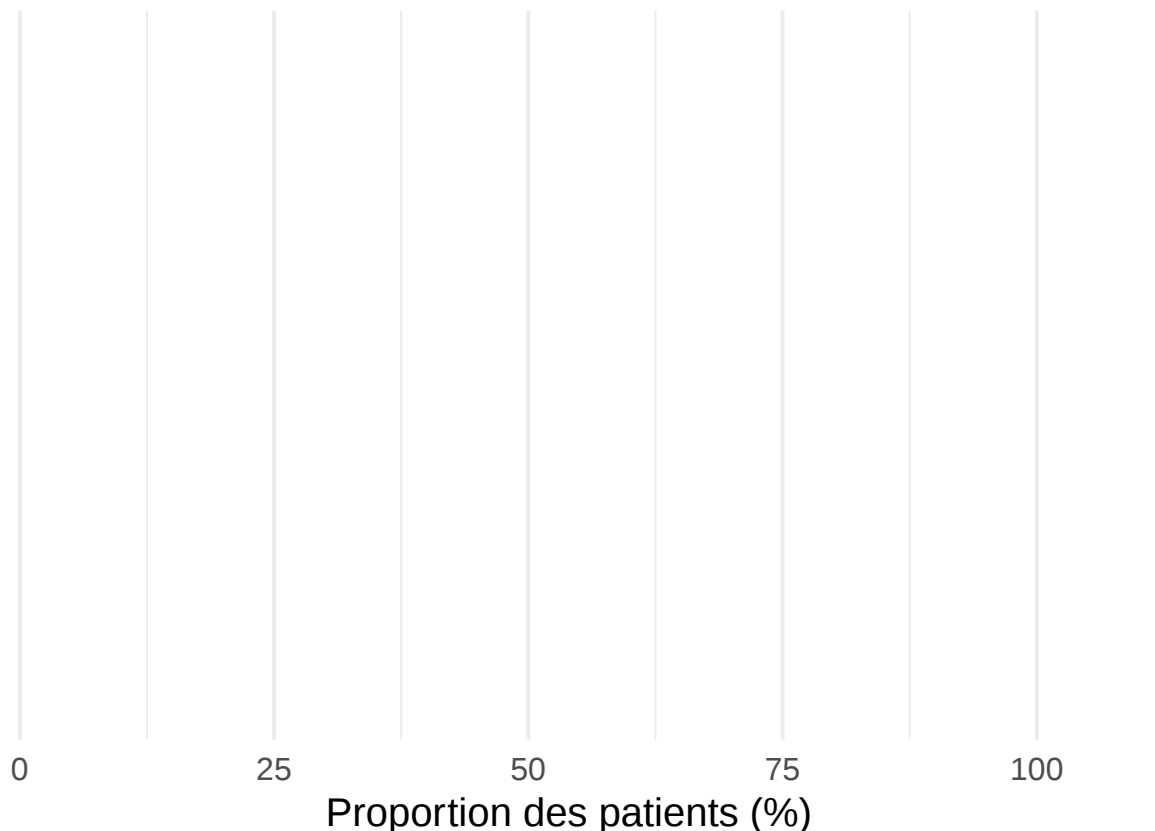


Figure 5: Proportion des patients avec un cancer (effectifs correspondants à au moins 11 patients)

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 CAVAL01).
- **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 CAVAL01 + 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 CAVAL01 + 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. Les petits effectifs (≤ 10) sont masqués pour des raisons de confidentialité.

source	Nombre de patients	Nb de dispensations
TOT_PMSI	110	3048
TOT_DCIR	111	3096
IND_BAS	106	2849
IND_HAUT	110	3034
IND_MAX	110	3034