

Expérimentation article 51 « Liste en Sus » (ExpéLES)

Illustration et enseignements méthodologiques de l’extension expérimentale du PMSI à l’analyse en vie réelle

INTRODUCTION

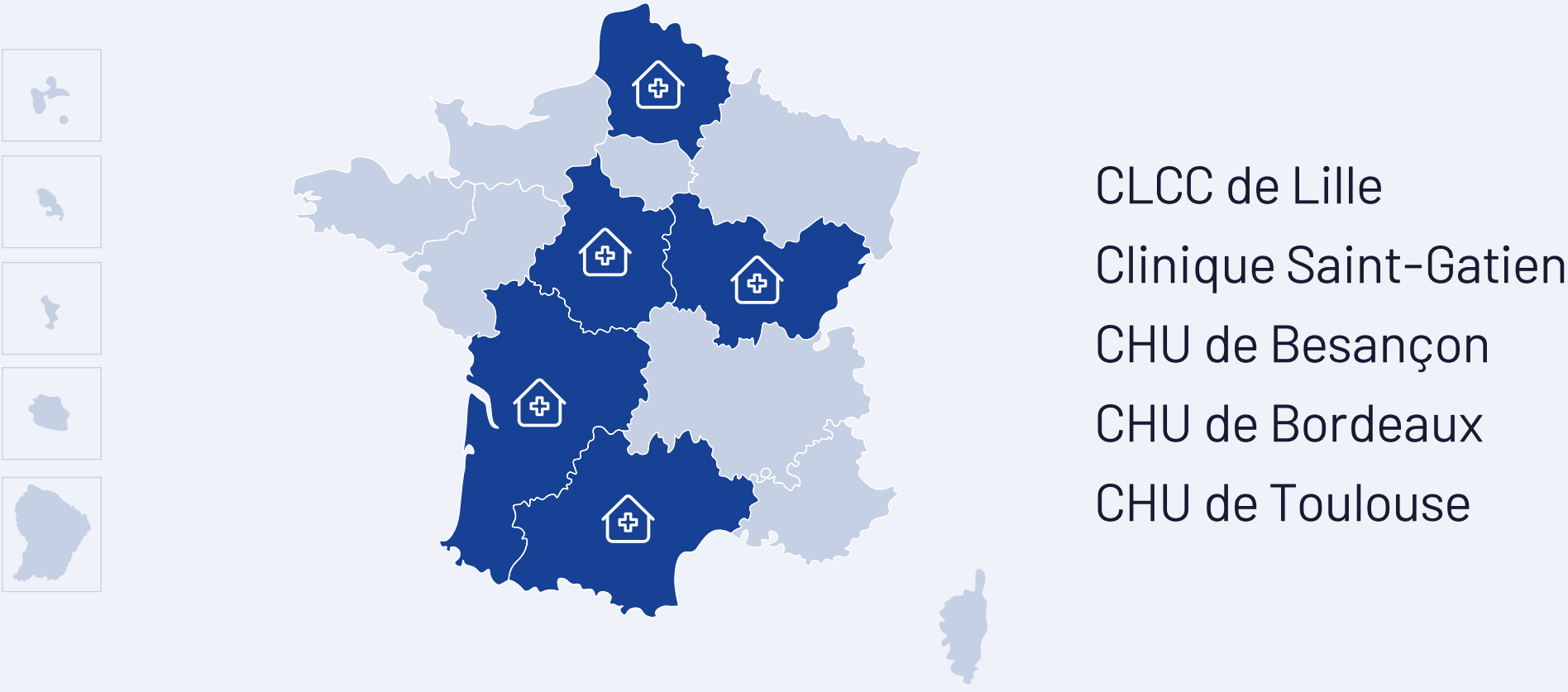
L’expérimentation « Liste en sus » (ExpéLES) conduite par le Ministère de la Santé constitue l’une des principales initiatives résultant du rapport Begaud / Polton / Von Lennep de 2017 qui visait le développement de l’analyse de données en vie réelle.

Cette expérimentation, inscrite parmi les projets « article 51 », a conduit à un recueil généralisé et adossé au PMSI, de plusieurs indicateurs portant sur la stratégie thérapeutique, les résultats cliniques et la qualité de vie des patients concernés par l’administration de molécules onéreuses (dites molécules « de la liste en sus »).

MÉTHODOLOGIE

Centres expérimentateurs

L’ExpéLES a inclus 3 CHU, 1 CLCC et 1 clinique privée à but lucratif volontaires sur la période 2020-2023.



Données recueillies

L’expérimentation a conduit à recueillir et analyser des données cliniques et de prescriptions additionnelles, incluant notamment des données relatives au patient (poids, taille), aux traitements onéreux (date de début de traitement, description des utilisations hors AMM) et les traitements intra-GHS.

Un focus a été réalisé pour une sélection de pathologies (cancer du sein, cancer du poumon et myélome multiple), avec un recueil additionnel du stade TNM, de la réponse selon RECIST et de la qualité de vie selon EQ5D.

CONCLUSION

Prenant le contre-pied des efforts actuels d’analyses RWE généralement centrées sur une seule aire thérapeutique, mais aussi des déploiements d’entrepôts de données inter-hospitalières mais non structurées, l’ExpéLES s’est attachée à établir un socle transversal et structuré de données à recueillir systématiquement pour les thérapies médicamenteuses les plus onéreuses à l’échelle nationale.

Cette expérimentation a démontré la force de cette extension du recueil du PMSI à certaines caractéristiques biologiques des patients, mais a également permis d’en tirer une liste d’enseignements si l’expérimentation devait être étendue (structuration du recueil des lignes de traitement et de l’indication thérapeutique, par exemple).

L’expérimentation ne devrait pas connaître de suite directe mais les enseignements sont susceptibles d’alimenter la réflexion sur des extensions du périmètre actuel du PMSI, en vue d’une facilitation de l’analyse en vie réelle à une échelle pluridisciplinaire.

Abréviations

AMM : Autorisation de Mise sur le Marché ; **CHU** : Centre Hospitalier Universitaire ; **CLCC** : Centre de Lutte Contre le Cancer ; **EQ5D** : European Quality of Life 5 Dimensions ; **ExpéLES** : Expérimentation "Liste en sus" ; **GHS** : Groupe Homogène de Séjour ; **PMSI** : Programme de Médicalisation des Systèmes d’Information ; **RECIST** : Response Evaluation Criteria In Solid Tumours ; **RWE** : Real Wordl Evidence

Remerciement

Les auteurs remercient les 5 établissements ayant participé à l’expérimentation, l’Agence Technique de l’Information sur l’Hospitalisation (ATIH) pour la collecte et la livraison des données, ainsi que la Direction de la Sécurité Sociale (DSS) et la Direction Générale de l’Offre de Soins (DGOS) pour l’accord de diffusion des résultats.

Source de données

Les données présentées dans ce poster sont issues de la collecte des données réalisées lors de l’expérimentation article 51 "ExpéLES" autorisée par la CNIL.

CALENDRIER

Le covid a entraîné un retard en cascade sur l’ensemble du projet, partiellement compensé par une prolongation de 1 an.

Année	2019	2020				2021				2022				2023				2024		
Trimestre	T3	T4	T1	T2	T3	T4	T1	T2	T3	T4	T1	T2	T3	T4	T1	T2	T3	T4	T1	T2
Contexte général en France				Tensions sur appro. pharma.			Suite vaccinations et tensions sur stocks pharma.		PLFSS 2022				PLFSS 2023				PLFSS 2024			
Contexte de l'expé			Financement dérogatoire des 5 ES												Prolongation de l'expéLES				Arrêt	
Phases du modèle économique	Application au lieu de mise en place application			Ajustement procédures ex00N			 Bilan 2020			 Bilan 2021		Concertations pour avenant de prolongation			 Bilan 2022		Régul. 2023			
Phases de recueil	Appui ATIH et assistance Care Factory Validation définitive des données à recueillir						Recrutements dédiés de personnel dans certains ES Contractualisation avec éditeurs pour évolution des outils		Premiers dépôts de données sur plateforme ATIH											
Phase d'exploitation des données							Production des premières analyses						Plateforme de restitution des résultats		Exploitation trimestrielle des données en année pleine				Bilan	

🟡 Retard sur calendrier initial 🟢 Déroulement en concordance avec le calendrier initial ⚫ Clôture conforme au calendrier initial
🌨️ COVID 🎯 Calibrage des dotations 📁 Bilan des boni/mali et régulation

RÉSULTATS

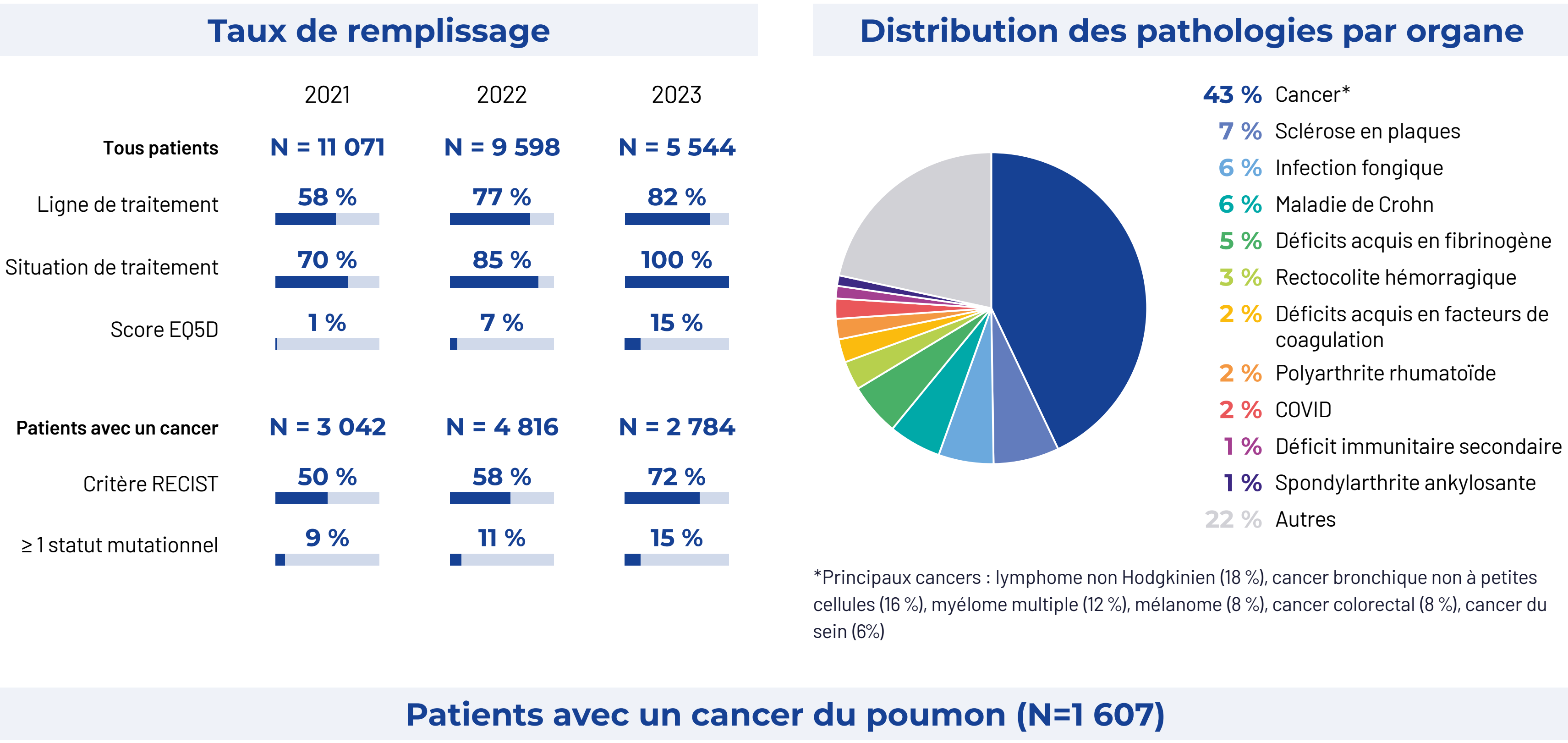


Figure 1 : Upset plot permettant de visualiser les associations de traitements retrouvées en 1^{ère} ligne

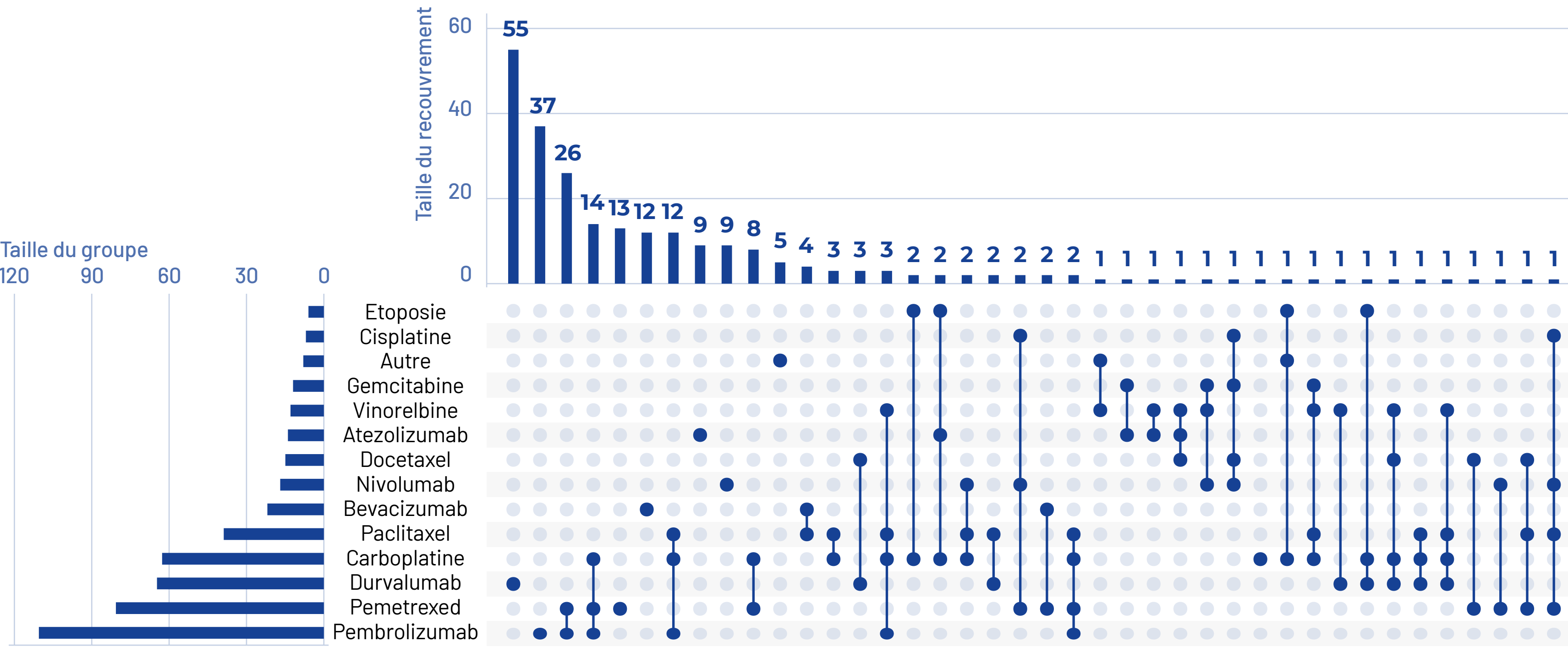
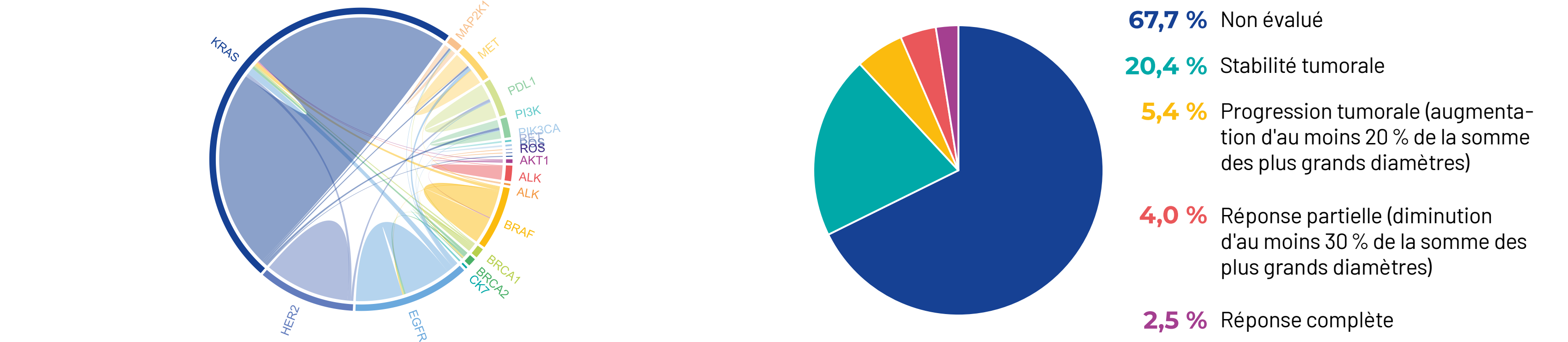


Figure 2 : Chord diagram permettant de visualiser les statuts mutationnels



Bilan de l'expérimentation

Par ailleurs, l’expérience de l’expéLES invite à circonscrire l’effort de recueil en se concentrant en priorité sur les indicateurs présentant le meilleur équilibre entre effort et intérêt du recueil, puis en structurant les modalités de son analyse. La concertation avec les établissements en fin d’expérimentation a conduit à établir la balance suivante.

Effort de recueil			
Intérêt	🟢 Faible	🟡 Intermédiaire	🔴 Elevé
🟢 Elevé	- Identification des associations médicamenteuses LES+Intra-GHS - Durée et fréquence de l’administration - Diagnostic principal - Tranche d’âge et genre	- Statuts hormonaux et mutationnels - TNM (Tumeur, Nodes, Métastases)	- Qualité de vie des patients - Recueil des rémissions et décès incluant l’imputabilité à la pathologie traitée
🟡 Intermédiaire	Données de prix d’achat	Stades et phases de traitement	RECIST
🔴 Faible	Âge exact / Poids / Taille	Données de prix d’achat	- Indication thérapeutique pour les médicaments intra-GHS - Confirmation de passage en RCP pour les indications hors AMM