

Expérience en vie réelle du voxelotor dans la prise en charge des complications de la drépanocytose

N. Shah¹; T. Lipato²; O. Alvarez³; T. Delea⁴; A. Lonshteyn⁴; D. Weycker⁴; O. Alfa Cissé⁵; F. Darson⁵; A. Nguyen⁶; A. Beaubrun⁶; I. Igodoa⁷
¹Duke University School of Medicine, Durham, NC, USA; ²VCU Health, Richmond, VA, USA; ³University of Miami, Miami, FL, USA; ⁴Policy Analysis Inc. (PAI), Brookline, MA, USA; ⁵Global Blood Therapeutics, Affaires Médicales, Paris, France; ⁶Global HEOR, Medical Affairs, Global Blood Therapeutics, South San Francisco, CA, USA; ⁷Global Blood Therapeutics, Medical Affairs, South San Francisco, CA, USA.

INTRODUCTION

La drépanocytose est une maladie génétique héréditaire qui provoque la polymérisation de l'HbS, conduisant à une hémolyse et une anémie chronique et des CVO.^{1,2}

- Voxelotor est un inhibiteur de polymérisation de l'HbS approuvé par l'EMA* pour le traitement de l'anémie hémolytique due à la drépanocytose chez les patients adultes et pédiatriques, âgés de ≥ 12 ans, en monothérapie ou en association avec l'hydroxyurée.⁴
- Voxelotor est également indiqué aux Etats-Unis pour le traitement de la drépanocytose chez les adultes et les adolescents âgés de de 12 ans et plus.³

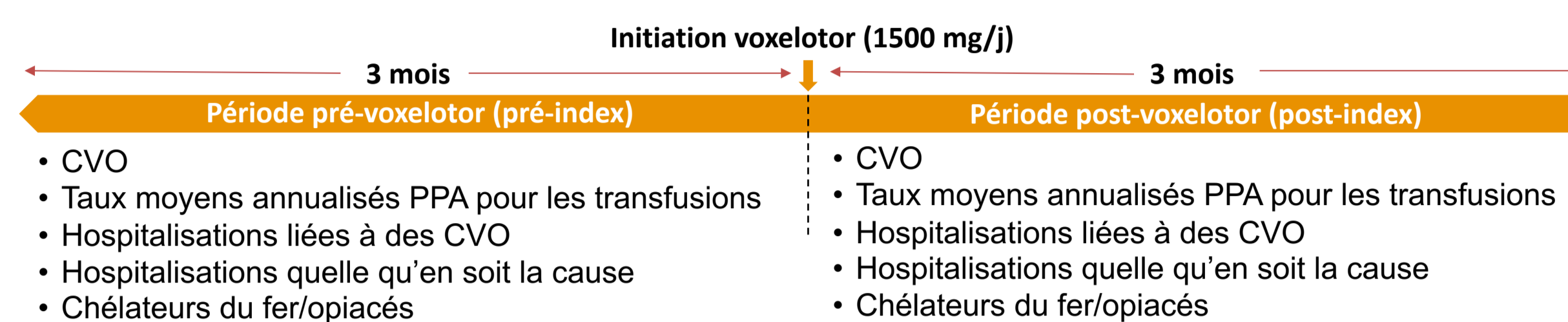
*European Medicines Agency; CVO, Crises Vaso-Occlusives; HbS, Hémoglobine S

MÉTHODES

Les données dites de réclamations médicales et pharmaceutiques concernant les patients ≥ 12 ans atteints de drépanocytose et pour lesquels Voxelotor a été initié entre novembre 2019 et juin 2021, ont été colligées à partir du registre «Symphony Health Database».

• Les données des patients actifs dans la base depuis plus d'un an ont été incluses dans l'analyse.

Les caractéristiques démographiques et cliniques à la baseline ont été regroupées.



• Les réponses du taux d'hémoglobine ont été évaluées pour un sous-groupe de patients pour lesquels au moins 1 valeur d'Hb mesurée à la fois pendant la période pré-index et la période post-index était disponible.

PPA, Par Patient-Année; CVO, Crises Vaso-Occlusives; Hb, Hémoglobine

RÉSULTATS

Données démographiques

	Patients traités par Voxelotor (N=3128)
Sexe (%)	
Hommes	40,1
Femmes	59,9
Age, moyenne, années (DS)	34,7 (14,6)
Patients avec plus de 3 CVO avant l'instauration de Voxelotor, %	34

Données de l'analyse intermédiaire de Juin 2021.

CVO : Crises Vaso-Occlusives

Les patients recevant Voxelotor ont présenté une augmentation du taux d'hémoglobine durant la période Post-Index

	Patients traités par Voxelotor (N=74)
Hb, Moyenne, g/dL (IC 95%)	
Valeur Pré-index	7,8 (7,5, 8,2)
Valeur Post-index	8,9 (8,5, 9,4)
Pourcentage de patients ayant eu une augmentation de l'hémoglobine de plus de 1g/dL à tout moment durant la période de suivi. (%)	60,8

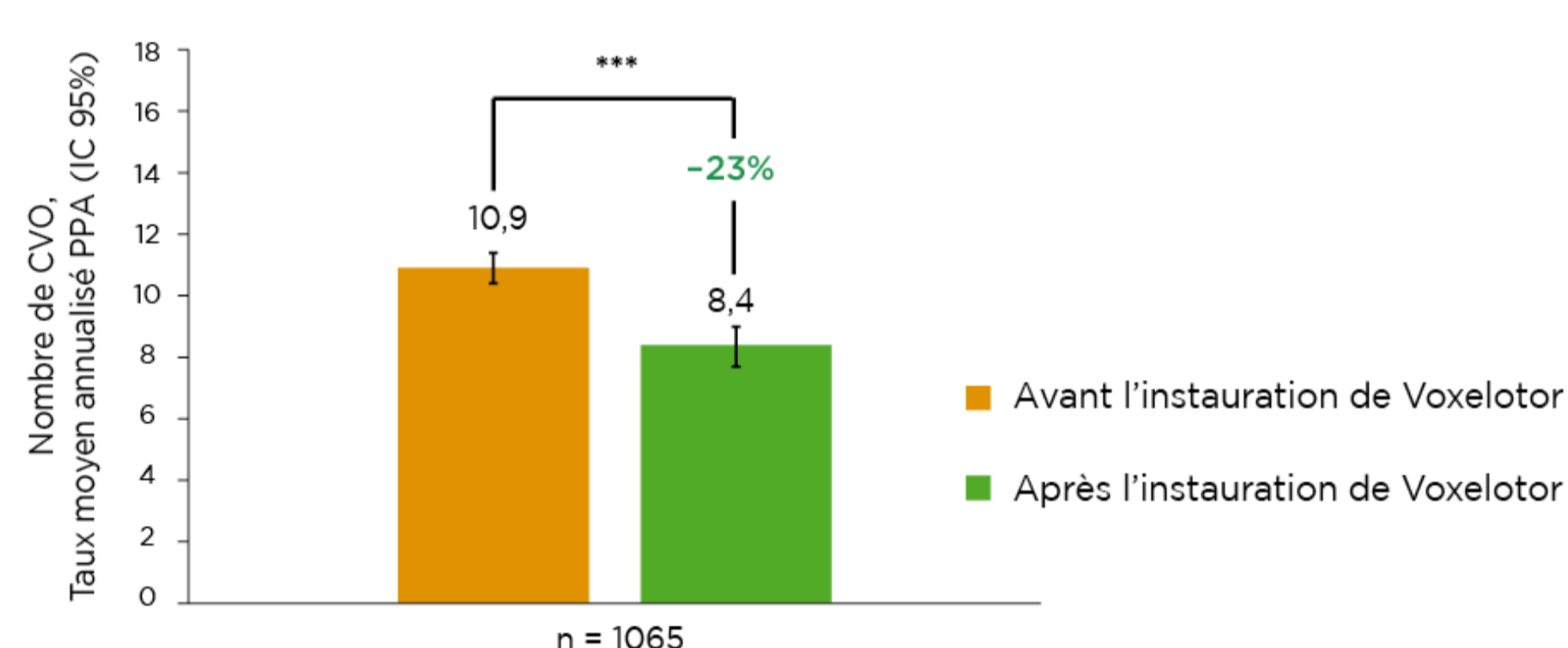
Données présentées à partir de l'analyse intermédiaire de Juin 2021.

L'IC à 95% est obtenu par la technique statistique de Bootstrap.

Hb = Hémoglobine

Les patients avec des CVO récentes et recevant Voxelotor, ont reporté moins de crises pendant la période Post-Index

Patients ayant 1 ou plusieurs CVO dans les 3 mois précédant l'instauration de Voxelotor



***P<0,001.

Les données présentées sont basées sur l'analyse intermédiaire de juin 2021.

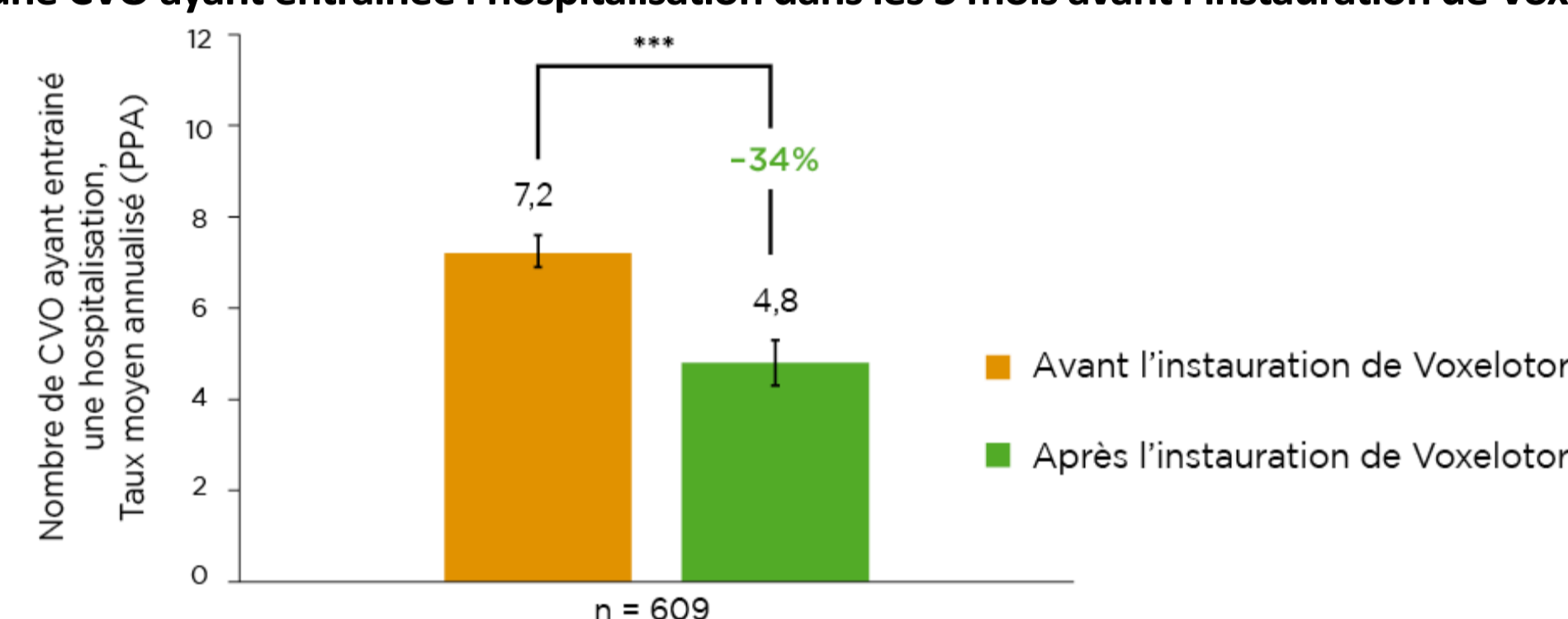
Barres d'erreur pour un IC à 95 %. Les IC à 95 % ont été obtenus par technique statistique de bootstrap.

«Avant» fait référence à la période de 3 mois avant la première administration de Voxelotor. «Après» fait référence à la période à partir de la date index jusqu'à la fin du suivi.

PPA : Par Patient-Année ; CVO : Crises Vaso-Occlusives.

Les patients récemment hospitalisés en raison de CVO recevant Voxelotor ont présentés moins d'hospitalisations liées aux CVO pendant la période Post-index

Patients ayant plus d'une CVO ayant entraîné l'hospitalisation dans les 3 mois avant l'instauration de Voxelotor



***P<0,001.

Les données présentées sont basées sur l'analyse intermédiaire de juin 2021.

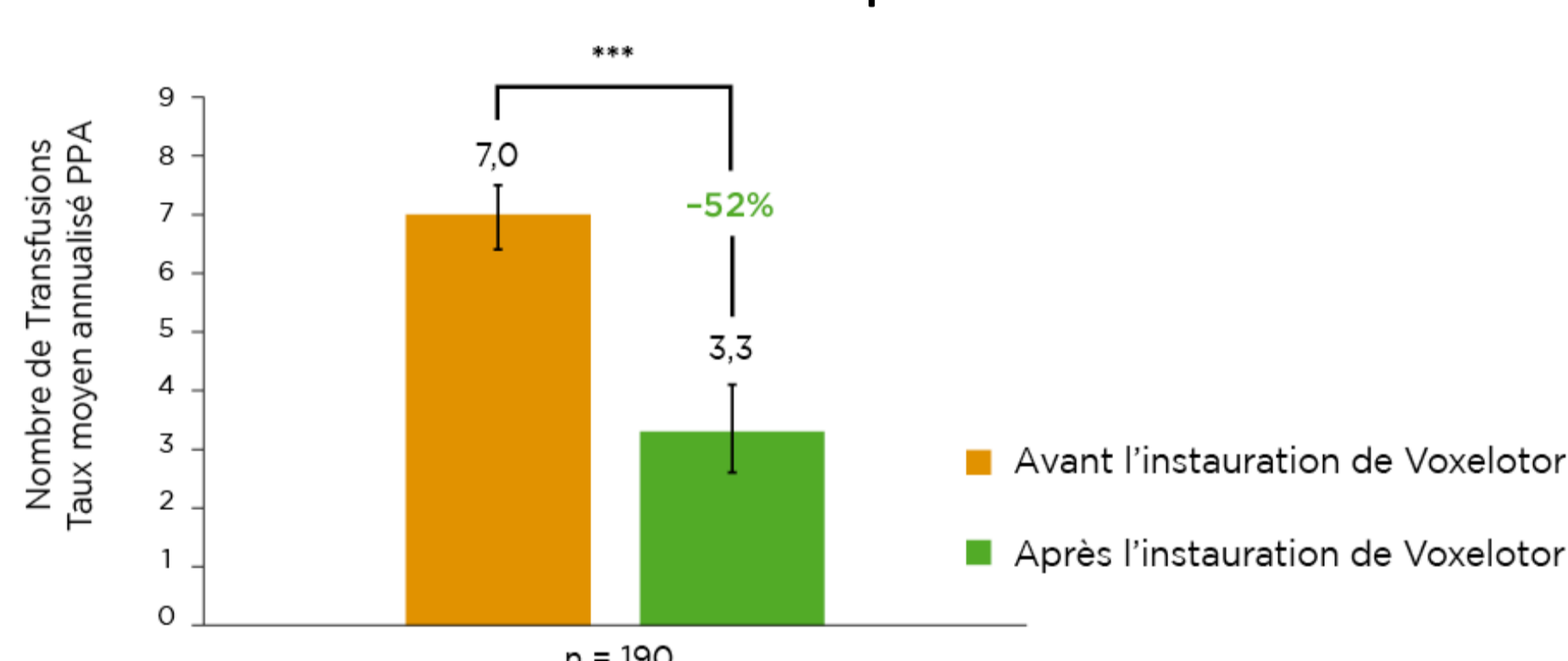
Barres d'erreur pour un IC à 95 %. Les IC à 95 % ont été obtenus par technique statistique de bootstrap.

«Avant» fait référence à la période de 3 mois avant la première administration de Voxelotor. «Après» fait référence à la période à partir de la date index à la fin du suivi.

PPA : Par Patient-Année ; CVO : Crises Vaso-Occlusives.

Les patients traités par Voxelotor et ayant reçu une transfusion récente avaient moins de transfusions dans la période Post-index.

Patients ayant eu au moins une transfusion dans les 3 mois précédant l'instauration de Voxelotor



***P<0,001.

Les données présentées sont basées sur l'analyse intermédiaire de juin 2021.

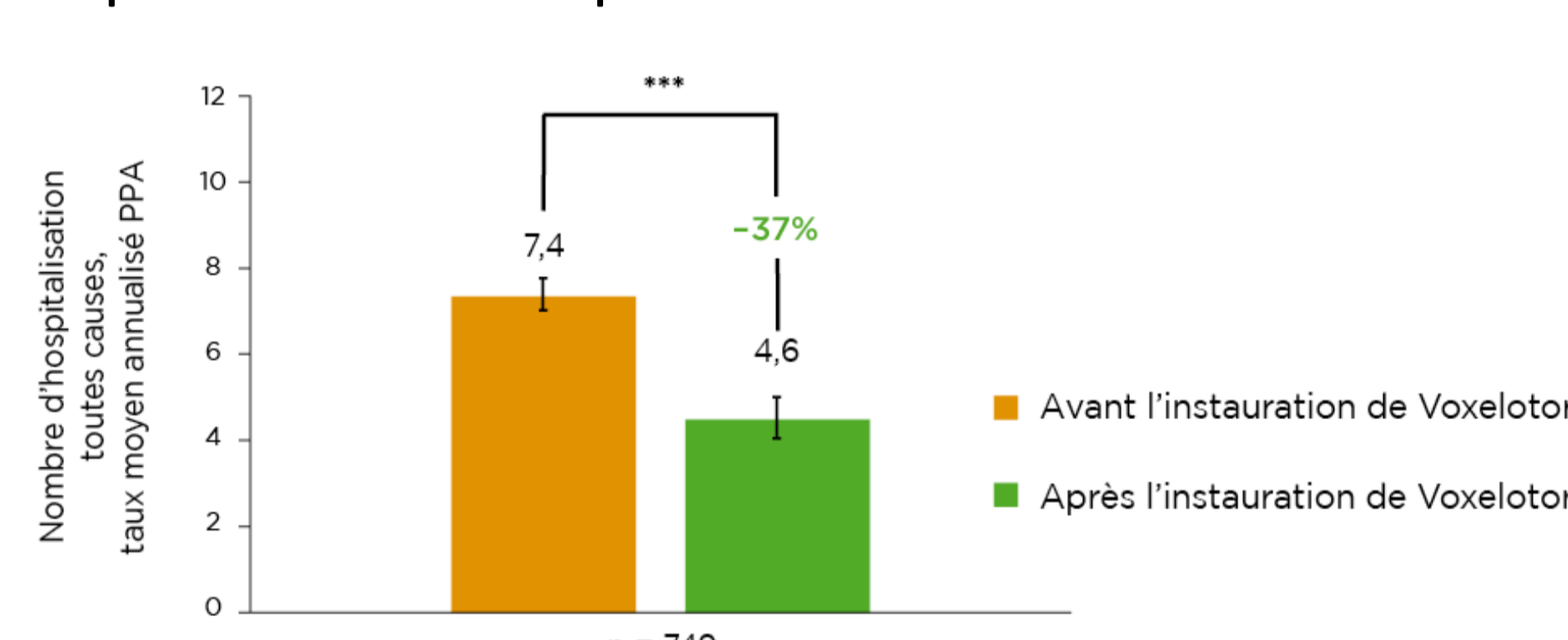
Barres d'erreur pour un IC à 95 %. Les IC à 95 % ont été obtenus par technique statistique de bootstrap.

«Avant» fait référence à la période de 3 mois avant la première administration de Voxelotor. «Après» fait référence à la période à partir de la date index jusqu'à la fin du suivi.

PPA : Par Patient-Année

Le nombre d'hospitalisations toutes causes diminue chez les patients récemment hospitalisés recevant Voxelotor

Patients hospitalisés dans les 3 mois précédant l'instauration de Voxelotor



***P<0,001.

Les données présentées sont basées sur l'analyse intermédiaire de juin 2021.

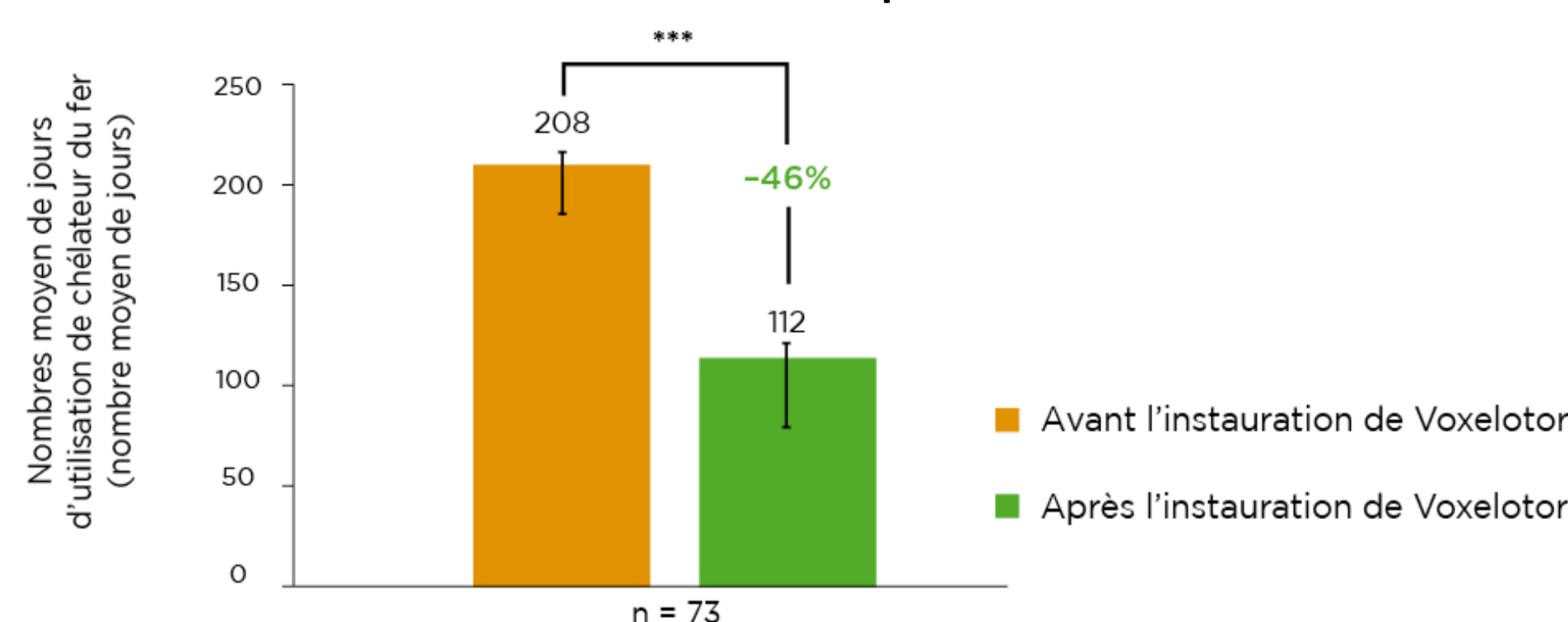
Barres d'erreur pour un IC à 95 %. Les IC à 95 % ont été obtenus par technique statistique de bootstrap.

«Avant» fait référence à la période de 3 mois avant la première administration de Voxelotor. «Après» fait référence à la période à partir de la date index jusqu'à la fin du suivi.

PPA : Par Patient-Année

Les patients recevant Voxelotor présentaient une réduction de l'utilisation de chélateurs du fer et une moindre prescription d'opiacés pendant la période Post-index

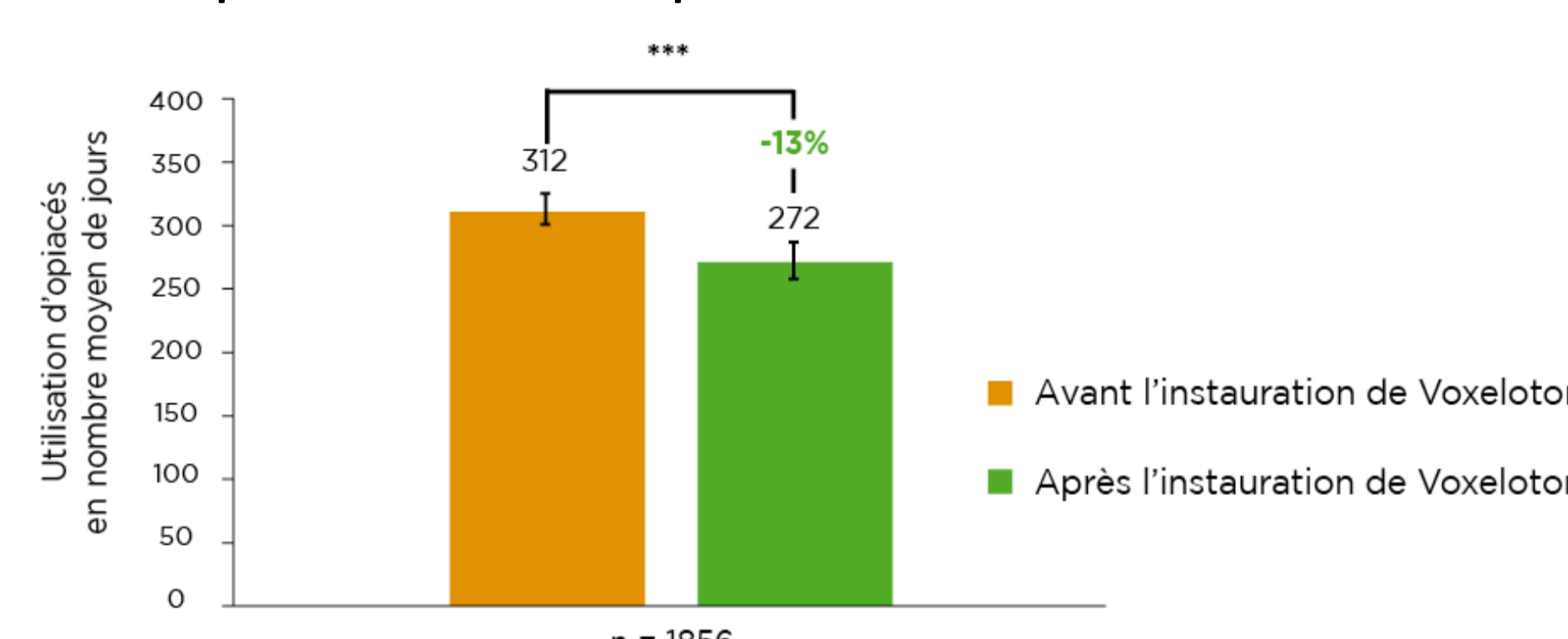
Patients recevant des chélateurs du fer dans les 3 mois précédant l'instauration de Voxelotor



• Parmi les 73 patients ayant utilisé un chélateur de fer pendant la période pré-index, 43 (56 %) n'ont pas utilisé de chélateur de fer pendant la période post-index (P<0,001).

• Parmi les 81 patients ayant utilisé des ASE au cours des 3 mois de période pré-index, 17 (21 %) n'avaient pas utilisé d'ASE après l'instauration de Voxelotor (P<0,001).

Patients recevant des opiacés dans les 3 mois précédant l'instauration de Voxelotor



***P<0,001.

Les données présentées sont basées sur l'analyse intermédiaire de juin 2021.

Barres d'erreur pour un IC à 95 %. Les IC à 95 % ont été obtenus par technique statistique de bootstrap.

«Avant» fait référence à la période de 3 mois avant la première administration de Voxelotor. «Après» fait référence à la période à partir de la date index jusqu'à la fin du suivi.

ESA = Agent Stimulant l'erythropoïèse ; PPA : Par Patient-Année ; CVO : Crises Vaso-Occlusives.

CONCLUSIONS

Dans la pratique en vie réelle, Voxelotor augmente le taux d'hémoglobine, conformément aux données de l'essai clinique HOPE.

Les données de vie réelle renforcent le faisceau de preuves sur l'efficacité du Voxelotor dans le traitement de drépanocytose et dans la prise en charge des complications associées.

Les données observées montrent une réduction statistiquement significative des transfusions, des CVO, des hospitalisations toutes causes et des hospitalisations dues aux CVO avec Voxelotor.

La limite de cette analyse comprend la possibilité de biais de tendance séculaire ou de la régression vers la moyenne.

RÉFÉRENCES

1. Kato GJ, Piel FB, Reid CD, et al. Sickle cell disease. *Nat Rev Dis Primers*. 2018;4:18010. 2. Cintron-Garcia J, Ajebo G, Kota V, et al. Mortality trends in sickle cell patients. *Am J Blood Res*. 2020;10(5):190-197. 3. Oxbrta. Prescribing information. Global Blood Therapeutics; January 2021. 4. La Commission européenne approuve Oxbrta® (voxelotor) pour le traitement de l'anémie hémolytique chez les patients atteints de drépanocytose, âgés de 12 ans et plus. Communiqué de presse. Global Blood Therapeutics. 16 février 2022. Consulté le 16 février 2022. <https://ir.gbt.com/news-releases/news-release-details/european-commission-approves-oxbrta-voxelotor-treatment>.

REMERCIEMENTS

Nous remercions tous les patients drépanocytaires, les familles, les soignants, les infirmières de recherche, les coordonnateurs de l'étude et le personnel qui ont contribué à cette étude.

• Cette étude a été financée par le laboratoire Global Blood Therapeutics.

Les auteurs remercient Dylan Mori, PhD (Healthcare Consultancy Group avec un financement de Global Blood Therapeutics) pour son aide éditoriale dans la préparation de ce rapport.