



HAL
open science

Maladie de Gaucher : analyse finale de l'étude prospective et multicentrique ELIPRO (ELIglustat Patient Reported Outcomes)

F. Camou, C. Helle, A. Lagadec, A. Coutinho, M.G Berger, Berengere Cador-Rousseau, F. Gaches, N. Belmatoug

► To cite this version:

F. Camou, C. Helle, A. Lagadec, A. Coutinho, M.G Berger, et al.. Maladie de Gaucher : analyse finale de l'étude prospective et multicentrique ELIPRO (ELIglustat Patient Reported Outcomes). 83e Congrès de la Société Nationale Française de Médecine Interne, 2021, Paris, France. hal-03462838

HAL Id: hal-03462838

<https://uca.hal.science/hal-03462838v1>

Submitted on 6 Dec 2021

HAL is a multi-disciplinary open access archive for the deposit and dissemination of scientific research documents, whether they are published or not. The documents may come from teaching and research institutions in France or abroad, or from public or private research centers.

L'archive ouverte pluridisciplinaire **HAL**, est destinée au dépôt et à la diffusion de documents scientifiques de niveau recherche, publiés ou non, émanant des établissements d'enseignement et de recherche français ou étrangers, des laboratoires publics ou privés.



Distributed under a Creative Commons Attribution 4.0 International License

Maladie de Gaucher : analyse finale de l'étude prospective et multicentrique ELIPRO (ELIglustat Patient Reported Outcomes)

F. Camou (1) ; C. Helle (2) ; A. Lagadec (2) ; A. Coutinho (3) ; MG. Berger (4) ; B. Cador-Rousseau (5) ; F. Gaches (6) ; N. Belmatoug (7)
(1) Réanimation, Hôpital Saint-André, Bordeaux; (2) Medical, Sanofi Genzyme, Gentilly; (3) Association, Vaincre les Maladies Lysosomales, Massy; (4) Service d'hématologie biologique, CHU Estaing, Clermont-Ferrand; (5) Médecine interne, Centre Hospitalier Universitaire de Rennes, Rennes; (6) Médecine interne, Hôpital Joseph Ducloux, Toulouse; (7) Médecine interne, Hôpital Beaujon (AP-HP), Hôpitaux Universitaires Paris Val de Seine, Clichy

Introduction

L'étude ELIPRO est une étude nationale observationnelle, qui vise à obtenir les premières données d'utilisation en vie réelle d'éliglustat, traitement oral de première intention dans la maladie de Gaucher de type 1 (MG1), avec un focus particulier sur les mesures auto-rapportées par le patient (Patient Reported Outcomes). Nous présentons ici l'analyse finale de l'étude.

Patients et méthodes

Les patients sont répartis en 2 groupes selon l'ancienneté du traitement par éliglustat au moment de l'inclusion : groupe 1 (plus de 6 mois) et groupe 2 (moins de 6 mois). Le critère d'évaluation principal était le niveau d'observance d'éliglustat dans le groupe 2 six mois après l'inclusion, mesuré par l'échelle de Morisky (MMAS-8). Les critères d'évaluation secondaires étaient la qualité de vie (échelle numérique EQ-5D-3L : 0 à 100 [meilleure qualité de vie imaginable]), la fatigue, la douleur (0 [aucune fatigue ou douleur] à 10), la satisfaction vis-à-vis du traitement (échelle Lickert) et le niveau d'observance à 12 mois dans les deux groupes.

Résultats

La population d'analyse était de 60 patients (58% d'hommes) avec un âge moyen à l'inclusion de 46,6±13,9 ans (29 patients dans le groupe 1 et 31 dans le groupe 2). La plupart des patients (81 %) étaient porteurs de l'allèle N370S (dont 27 % de patients homozygotes). La MG1 était le plus souvent de sévérité légère (90%) et 95% des patients étaient métaboliseurs rapides du CYP2D6. Cinquante-sept patients étaient déjà traités pour leur MG1 (91% sous enzymothérapies substitutives) à une posologie moyenne de 52,6 ± 11.5 U/kg/2 semaines. Des manifestations osseuses étaient présentes chez 48% des patients, 12% avaient déjà eu des épisodes hémorragiques en lien avec la MG1 et 9 patients (15%) étaient splénectomisés. Le nombre moyen de traitements concomitants par patient était de 2,4 ± 1,9 dans les deux groupes (N=39). À 6 mois, 58% des patients du groupe 2 présentaient une observance moyenne (6 < MMAS-8 ≤ 7,75) et 21 % une observance élevée (MMAS-8=8) (moyenne MMAS-8 : 6,7±1,0) ; des résultats similaires ont été obtenus dans le groupe 1 (moyenne MMAS-8= 6,8±1,4). À 12 mois, les scores moyens des groupes 1 et 2 étaient respectivement de 72,0±18,5 et 77,3±13,7 pour la qualité de vie, de 4,8±2,6 et 3,6±2,7 pour la fatigue, et de 3,3±2,7 et 2,3±2,3 pour la douleur. Les scores MMAS-8 moyens des groupes 1 et 2 étaient respectivement de 7,1±1,2 et 6,5±1,0. Dans l'ensemble, les biomarqueurs de la MG1, les taux d'hémoglobine et l'électrophorèse des protéines sont restés stables entre l'inclusion et 12 mois ; seuls les taux de plaquettes ont augmenté à 12 mois par rapport à la baseline. Les volumes spléniques et hépatiques moyens (13,3 ± 2,6 cm et 14,8 ± 2,3 cm respectivement à l'inclusion) sont restés stables après 1 an de suivi. Concernant la tolérance, 66% des patients (n=41) ont présenté des événements indésirables (EI) (4 sorties d'étude), dont 27% (N=17) avec des EI reliés à éliglustat.

Conclusion

L'observance est restée stable dans le temps, quelle que soit la durée d'exposition à éliglustat. Le bon profil de tolérance s'est accordé avec le haut niveau de satisfaction des patients (97% des patients) vis-à-vis du traitement. ELIPRO est une étude sponsorisée par Sanofi Genzyme.

Numéro : **000009**

Orateur : **F. Camou**

Structure : **Structure 1**

Thème : **Médecine Interne**

Mode de présentation : **Communication**

Liste des mots clés :

- Maladie de Gaucher
- Qualité de vie
- Traitement

Conflit d'intérêts : **Oui**

Déclaration des conflits d'intérêts :

- F. CAMOU : Advisory board ; Membre du comité scientifique de l'étude ELIPRO, investigateur principal ELIPRO pour Sanofi Genzyme
- N. BELMATOUG : Advisory board ; Membre du comité scientifique et co-investigateur dans l'étude ELIPRO pour Sanofi Genzyme
- F. GACHES : Advisory board ; Membre du comité scientifique et co-investigateur dans l'étude ELIPRO pour Sanofi Genzyme
- B. CADOR-ROUSSEAU : Advisory board ; Membre du comité scientifique et co-investigateur dans l'étude ELIPRO pour Sanofi Genzyme
- M.G. BERGER : Advisory board ; Membre du comité scientifique et co-investigateur dans l'étude ELIPRO pour Sanofi Genzyme
- A. COUTINHO : Advisory board ; Membre du comité scientifique de l'étude ELIPRO pour Sanofi Genzyme
- A. LAGADEC : Employée Sanofi Genzyme
- C. HELLE : Employée Sanofi Genzyme

Recherche fondamentale : **Non**

Engagement de cession de droits

Données personnelles

Mis à jour le : **vendredi 10 septembre 2021 18:37**