



Modèle d'intervention clinique (MIC) PGTM

Analyse descriptive – Usage du nusinersen pour le traitement de l'amyotrophie spinale chez les enfants et les adultes dans les CHU du Québec.

Contexte :

Le nusinersen est un médicament innovant et coûteux destiné au traitement de l'amyotrophie spinale qui est une maladie génétique rare. L'Institut d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) a recommandé son inscription à la Liste des médicaments – Établissements à condition que soit réalisé un suivi clinique. Dans ce contexte de l'approbation appuyée sur des données cliniques limitées, les comités de pharmacologie ont demandé que les résultats sur l'efficacité et l'innocuité soient décrits.

L'analyse a démontré que dans le contexte de la vie réelle, des obstacles importants rencontrés ont empêché d'obtenir un portrait complet de l'usage et de l'efficacité. L'absence d'un protocole établi avant l'amorce du traitement a entraîné des variations des moments des évaluations des patients (moments des mesures), des modalités d'application des outils de mesure et des outils de collecte des données. Plusieurs données qui étaient jugées essentielles à l'évaluation de l'efficacité n'étaient pas disponibles pour une proportion importante des patients. Ainsi, le nombre de patients réellement évaluables s'est avéré plus faible que le nombre de patients ayant reçu le nusinersen. L'amélioration et l'uniformisation des modalités de prise en charge et de documentation sont nécessaires pour l'obtention d'un profil complet lors de la poursuite du suivi de l'usage.

Avis scientifique du PGTM

Le Programme de gestion thérapeutique des médicaments est d'avis qu'il est important d'assurer un suivi de l'usage le plus complet possible pour l'ensemble des patients. Les suggestions suivantes pourraient être implantées afin d'optimiser la qualité du suivi de l'usage du nusinersen et des autres médicaments destinés au traitement de l'amyotrophie spinale dans les centres hospitaliers universitaires :

1. Poursuivre le suivi de l'usage afin de décrire l'efficacité et l'innocuité du nusinersen à plus long terme.
2. Inclure tout nouveau patient dans le suivi de l'usage. S'assurer que tous les patients sont évalués à l'amorce du traitement et au moins tous les 12 mois par la suite. Planifier les évaluations pour qu'elles incluent tous les aspects fonctionnels : fonctions motrice et respiratoire, qualité de vie et capacité fonctionnelle.
3. Former une communauté de praticiens pour uniformiser les modalités d'évaluation.
 - Établir un protocole pour la poursuite du suivi de l'usage. Ce protocole devra permettre de réduire le nombre des données manquantes et d'uniformiser les données rapportées. Il devra se conformer aux recommandations de l'INESSS en ce qui a trait aux informations minimalement requises. Il devra préciser le seuil de signification clinique dont on devra tenir compte.
 - Uniformiser les moments des mesures.
 - Uniformiser et optimiser la sélection des outils de mesure en privilégiant les outils validés ou pour lesquels un consensus d'experts a été obtenu. Contribuer au développement de nouveaux outils mieux adaptés au contexte clinique.
 - Assurer la formation uniformisée des cliniciens affectés à la passation des tests.
 - Agir à titre de ressource en ce qui a trait à la prise en charge de l'amyotrophie spinale.

Le pGTm est une initiative des cinq centres hospitaliers universitaires du Québec



Modèle d'intervention clinique (MIC) PGTM

Analyse descriptive – Usage du nusinersen pour le traitement de l'amyotrophie spinale chez les enfants et les adultes dans les CHU du Québec.

Cette communauté de praticiens serait un lieu de partage de connaissances sur l'amyotrophie spinale.

Un coordonnateur clinique provincial pourrait être désigné pour favoriser un consensus, prendre position et formuler rapidement des recommandations quant aux ajustements du protocole en vue de maintenir l'uniformisation des pratiques et d'optimiser le suivi de l'usage.

4. Améliorer et harmoniser l'outil de collecte des données. L'amélioration devrait cibler :
 - La possibilité de documenter en temps réel toute l'information nécessaire au suivi de l'usage par les équipes cliniques (p. ex. outil de collecte en ligne) et par les patients (p. ex. questionnaire en ligne sur la perception de la qualité de vie);
 - Faciliter les modalités d'accès et de transfert de l'information entre les établissements pour permettre le suivi de l'ensemble des données disponibles sur un même patient.
5. Compléter l'information manquante en ce qui concerne les caractéristiques de tous les patients, en particulier les caractéristiques génétiques (présence de mutation ou de délétion, nombre de copies du gène SMN2). Planifier la réalisation systématique des tests génétiques requis pour les futurs patients.
6. Prévoir l'ajout de renseignements pertinents aux d'informations actuellement requises comme:
 - Indicateurs de gravité : ajouter les catégories qui décrivent l'importance de l'atteinte, soit marcheurs, personnes indépendantes pour s'asseoir et personnes dépendantes pour s'asseoir;
 - Nouveaux outils de mesure à intégrer (p. ex. dynamomètre).
7. Prévoir les ressources disponibles pour assurer le suivi adéquat de l'usage – p. ex. coordination, passation des tests par les physiothérapeutes et les ergothérapeutes, collecte et analyse des données.
8. Prévoir l'inclusion des nouveaux médicaments destinés au traitement de l'amyotrophie spinale, soit l'onasemnogène abéparavec (Zolgensma^{md}) et le risdiplam (Evrysdi^{md}) dans le protocole de suivi de l'usage.
9. Prévoir l'ajout d'information qui permettra de comparer comment est vécue la transition du nusinersen vers un autre médicament destiné au traitement de l'amyotrophie spinale lorsqu'une telle transition est nécessaire.
10. Prévoir l'ajout d'information qui permettra de documenter comment est vécu le transfert des patients pédiatriques vers les cliniques qui offrent des soins aux patients adultes.

Objectif : Favoriser un suivi de l'usage du nusinersen qui permette de bien décrire l'efficacité obtenue en contexte de vie réelle.

Mesures d'intervention : Bien qu'il revienne à chaque milieu de prioriser l'une ou l'autre des interventions et de déterminer les interventions qui s'appliquent à la situation de son CHU, certaines actions concertées sont nécessaire pour garantir l'obtention rapide d'un profil complet de l'usage.

Échéancier : Implanter des mesures applicables dans chacun des CHU, idéalement dans les 12 mois à partir du mois d'octobre 2022.



Modèle d'intervention clinique (MIC) PGTM

Analyse descriptive – Usage du nusinersen pour le traitement de l'amyotrophie spinale chez les enfants et les adultes dans les CHU du Québec.

Plan d'intervention proposé :

- Présenter les résultats au comité de pharmacologie.
- Présenter les résultats aux cliniciens et pharmaciens directement impliqués dans la prise en charge de l'amyotrophie spinale :
 - les résultats locaux et du PGTM;
 - le besoin d'améliorer plusieurs modalités sur le plan de la sélection et des modalités d'application des outils de mesure de l'efficacité;
 - les faits à considérer et les recommandations;
- Discuter avec les cliniciens des améliorations qui peuvent être rapidement apportées afin de :
 - S'assurer que tous les patients soient évalués aux moments recommandés pour tous les aspects fonctionnels (fonctions motrice et respiratoire, qualité de vie et capacité fonctionnelle); Mettre des mesures en place pour minimiser les données manquantes en ce qui concerne les caractéristiques des patients;
 - Faciliter la collecte d'information et la rendre rapidement accessible;
 - Identifier des responsables (médecins, pharmaciens, infirmières, physiothérapeutes ou ergothérapeutes) pour assurer les suivis locaux ou avec la communauté de pratique;
- Dans un contexte de collaboration des 5 CHU :
 - Identifier un coordonnateur clinique provincial;
 - Former une communauté de cliniciens ayant comme responsabilité d'assurer une uniformisation des pratiques, en établissant un protocole de suivi de l'usage basé sur les recommandations du PGTM et de l'INESSS, en particulier :
 - Élaborer des outils de collecte harmonisés;
 - Assurer un consensus sur les indicateurs;
 - Uniformiser les moments des mesures, la sélection et les modalités d'application des outils de mesure;
 - Assurer la formation des cliniciens affectés à la passation des tests;
- Agir à titre d'experts sur le sujet et diffuser les mises à jour dans les CHU. Poursuivre le suivi local et provincial de l'usage du médicament et assurer que les ressources suffisantes requises soient disponibles.

Rédigé par Éline Pelletier et Marie-Claude Michel

Octobre 2022