

**BNDMR**

Banque Nationale de Données  
Maladies Rares  
▶ [bndmr.fr](http://bndmr.fr)

# Exposition aux glucocorticoïdes systémiques chez les patients atteints de maladies rares: une étude chaînée SNDS-BNDMR

Dr Sara BARRAUD

*CHU de REIMS*

## Dans les maladies rares:

- Petites cohortes du fait de la rareté
- Recours fréquent aux GC en l'absence de thérapie spécifique

## Glucocorticoïdes (GC)

- Traitement maladies inflammatoires / auto-immune
- Pathologies endocriniennes: traitement substitutif

## Associé à un risque de complications

- Diabète
- HTA
- Ostéoporose...



### Intérêt SNDS/DROMOS:

- Taille cohorte
- Fiabilité des données






### Quantifier l'exposition



### Evaluer l'impact des différents schémas thérapeutiques sur le retentissement



# Objectifs

-  **Evaluer l'exposition aux glucocorticoïdes chroniques systémiques dans les pathologies rares**
-  **Décrire l'utilisation en fonction de la pathologie**
-  **Evaluer la survenue de complications: exemple du diabète**

# Flow chart

Cohorte globale SNDS (direct + indirect)  
N=404 541

Patients avec données incohérentes ou  
identité ambiguë  
N=13 332

Patients avec :

- données cohérentes (sexe, DDN)
- sans ambiguïté sur l'identité (rang  
gémellaire, multiples NUM\_ENQ\_ANO)

N=391 197

Patients absents des données BNDMR  
N=10

Patients présents dans les données  
BNDMR  
N=391 187

Patients sans fiche diagnostic  
appropriée  
N=50 908

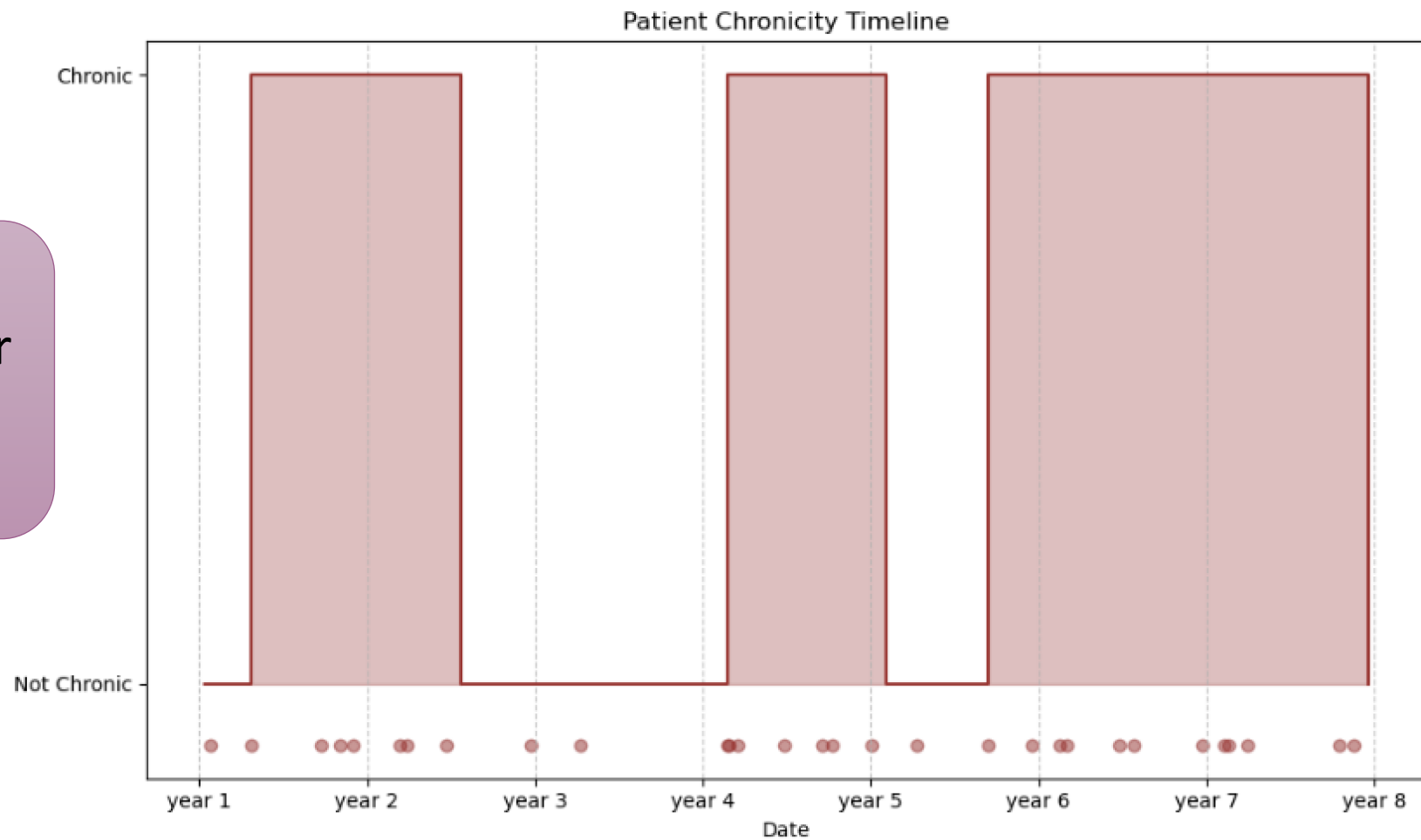
Patients avec un code ORPHA :

- actif
- de niveau *Maladie* (ou *Sous-type*  
associé)
- associé à plus de 100 patients
- sans mention "Porteurs sains"

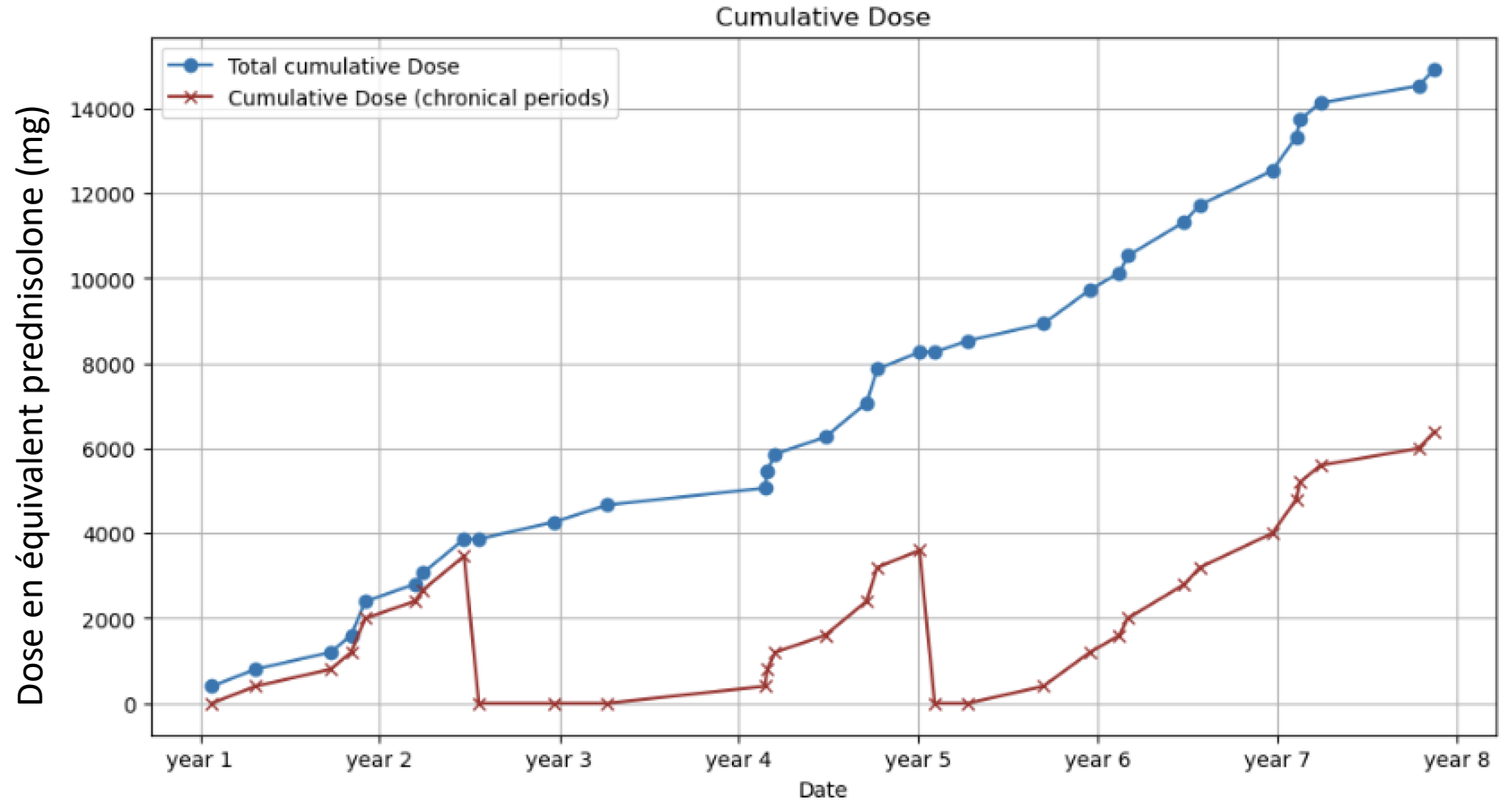
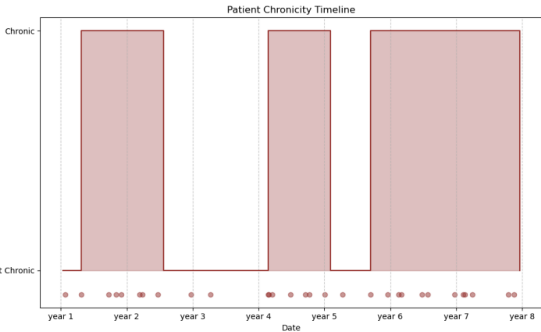
N=340 279

# Définition du caractère chronique

- $\geq 6$  remboursements/an
- Arrêt : 1 mois après le dernier remboursement en pharmacie



# Mesures de l'exposition aux glucocorticoïdes



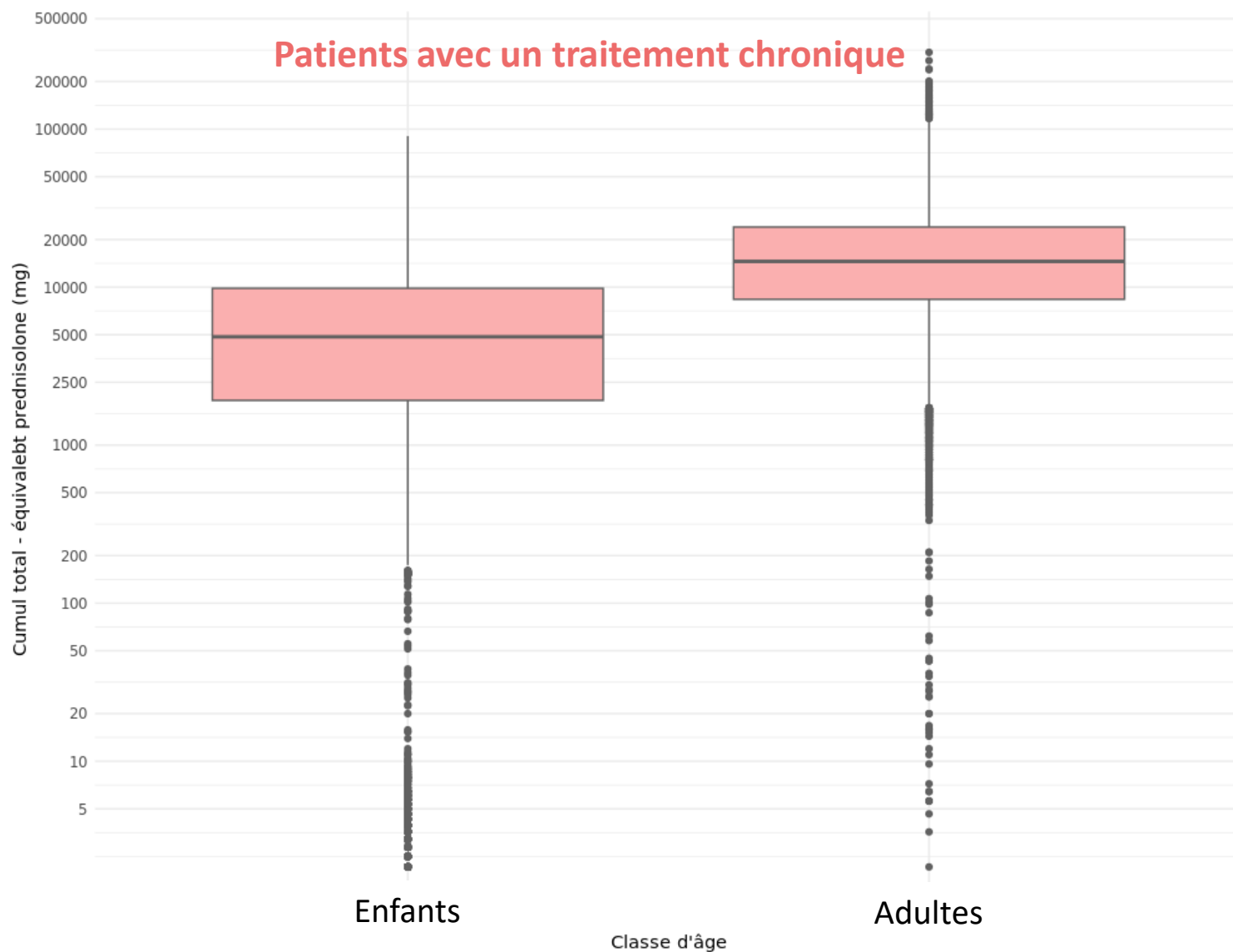
# Comparaison patients exposés vs non-exposés

- Prise chronique: 21%
- Durée médiane cumulée: 32 mois (IQR: 15 – 76)
- 1 période: 79 %
- ≥ 3 périodes: 3,7 %
- Maximum 6 périodes

Caractéristique	Prise chronique de corticoïdes	
	FALSE, N = 269,704 <sup>1</sup>	TRUE, N = 85,552 <sup>1</sup>
Age (ans)	32 (14, 57)	52 (28, 68)
Sexe		
F	138,358 (51%)	48,988 (57%)
M	131,346 (49%)	36,564 (43%)
Durée de suivi (an)	1.4 (0.2, 3.8)	1.8 (0.6, 4.2)
Hospitalisation complète	2 (1, 5)	5 (2, 9)
Décès	18,461 (6.8%)	8,121 (9.5%)
Diabète	21,254 (7.9%)	13,289 (16%)
HTA	71,249 (26%)	42,143 (49%)

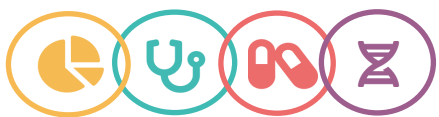
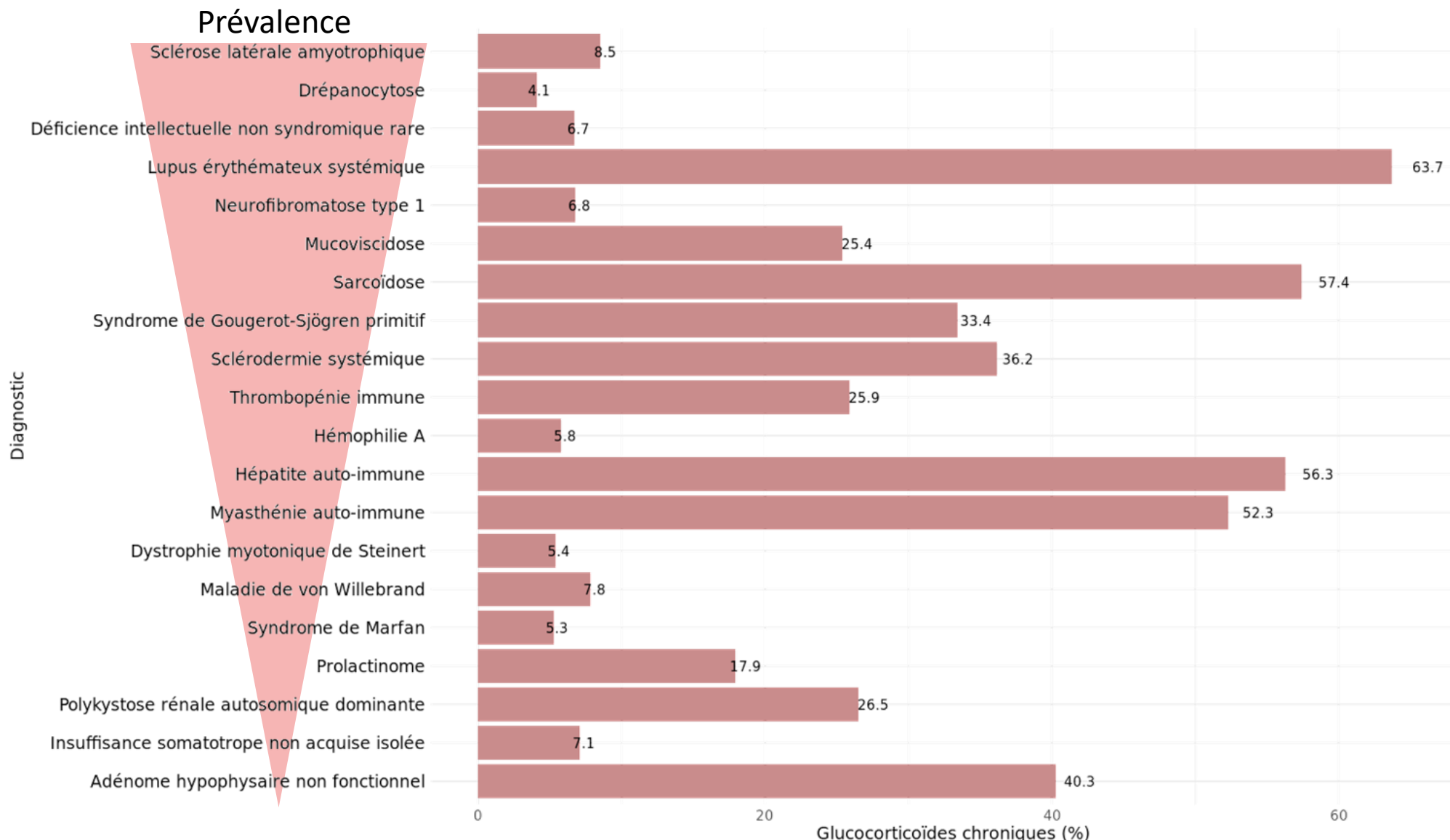
# Exposition cumulée aux glucocorticoïdes

Dose médiane cumulée  
totale (mg):  
12 792 (6 813 – 22 246)



# Fréquence de glucocorticoïdes parmi les pathologies rares les plus représentées

Dans les pathologies rares les + fréquentes, recours fréquents aux corticothérapies chroniques

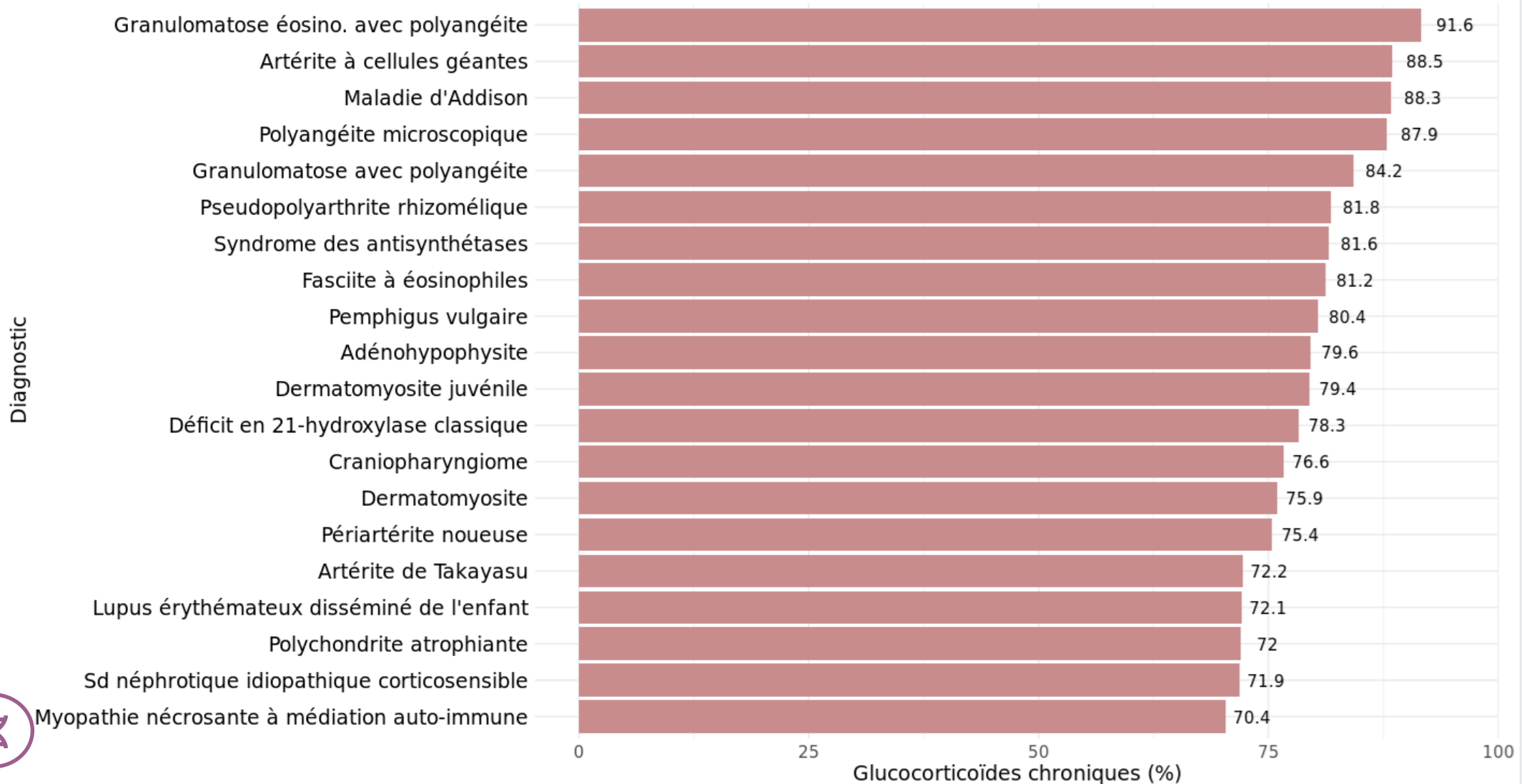


## Prise chronique de GC

La dose totale cumulée et la durée cumulée sont très variables selon la pathologie

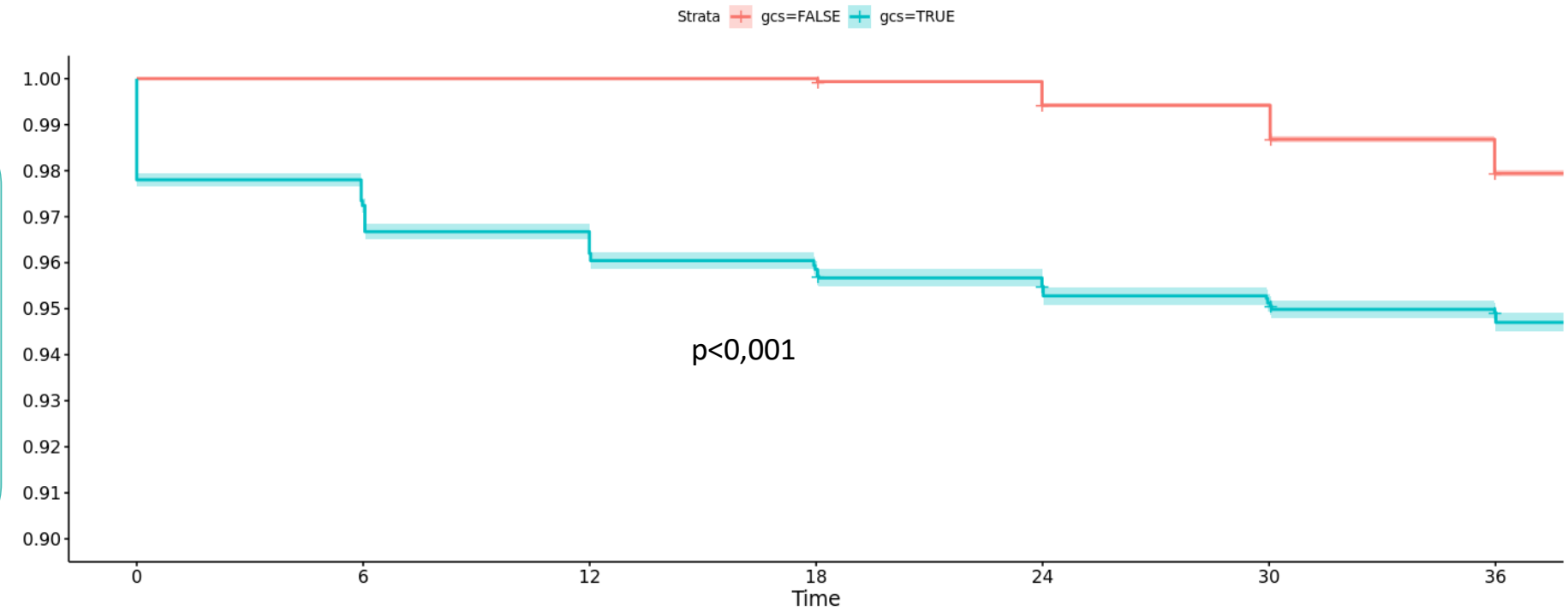
Pathologie	Dose cumulée (mg)	Durée cumulée (mois)
Sclérose latérale amyotrophique	9871 [5993 - 15600]	17 [12 - 34]
Drépanocytose	5500 [2729 - 10820]	20 [12 - 47]
Déficience intellectuelle non syndromique rare	3339 [1039 - 6684]	16 [13 - 28]
Lupus érythémateux systémique	16458 [9046 - 27444]	63 [27 - 121]
Neurofibromatose type 1	6572 [2795 - 12232]	17 [13 - 33]
Mucoviscidose	14200 [8179 - 23288]	46 [19 - 102]
Sarcoïdose	16583 [9831 - 27055]	43 [21 - 84]
Syndrome de Gougerot-Sjögren primitif	12163 [7541 - 21227]	34 [15 - 80]
Sclérodémie systémique	11938 [6741 - 20917]	41 [19 - 85]
Thrombopénie immune	11992 [7450 - 19212]	21 [12 - 48]
Hémophilie A	7200 [3616 - 13000]	16 [12 - 35]
Hépatite auto-immune	12215 [7232 - 20684]	29 [14 - 70]
Myasthénie auto-immune	18866 [11164 - 33659]	40 [19 - 83]
Dystrophie myotonique de Steinert	8644 [5727 - 13881]	18 [12 - 39]
Maladie de von Willebrand	7800 [4333 - 12725]	17 [12 - 30]
Syndrome de Marfan	8694 [4786 - 14280]	17 [13 - 37]
Prolactinome	8264 [4166 - 16164]	38 [15 - 87]
Polykystose rénale autosomique dominante	11583 [6596 - 20115]	42 [16 - 89]
Insuffisance somatotrope non acquise isolée	4565 [2046 - 10649]	20 [13 - 48]
Adénome hypophysaire non fonctionnel	10000 [5106 - 18756]	51 [17 - 109]

# Principales pathologies nécessitant la prise de glucocorticoïdes



# Diabète secondaire aux glucocorticoïdes

- Patients sans diabète préalable
- Wash-out: 2 ans
- Appariement
  - Année de naissance
  - Sexe
  - 1:3



Number at risk

Strata	0	6	12	18	24	30	36
<span style="color: red;">+</span> gcs=FALSE	137400	137400	137400	137400	131043	131043	114501
<span style="color: cyan;">+</span> gcs=TRUE	45800	44538	44060	43901	41730	41571	36265



# Conclusion

**Développement d'une méthode pour identifier les périodes d'exposition chronique**

**Développement d'un algorithme pour estimer la dose équivalente Prednisolone sur le SNDS**

**Recours important et variables aux GC chroniques dans les pathologies rares**

## **Perspectives:**

- Modèles de survie en prenant la dose de GC comme variable temps-dépendant
- Analyse des autres complications des GC
  - HTA
  - Traitements psychotropes
  - Ostéoporose
  - Ophtalmologiques
  - ...





# Remerciements



Toute l'équipe  
Anne Sophie Jannot  
Claude Messiaen  
Les filières



Guillaume Assié



Charbella Abou-Khalil



Collègues du service d'Endocrinologie,  
Diabète, Nutrition et du CReSTIC

