

Qualité de vie liée à la santé chez les personnes atteintes de drépanocytose en Europe : une revue systématique de la littérature

Giovanna T. Barcelos,¹ Telma Peixoto,² Abhishek Sharma,³ Joyce Wai-Yin Li,⁴ Eric Druyts,⁴ Frédérique Darson,⁵ Christine L. Baker³

¹Pfizer, AG, Zurich, Suisse ; ²Pfizer, LDA, Lisbonne, Portugal ; ³Pfizer, Inc, New York, New York, États-Unis ;

⁴Pharmalytics Group, Vancouver, C-B, Canada ; ⁵Affaires médicales, Pfizer, Paris, France

CONTEXTE

- Les personnes atteintes de drépanocytose souffrent de complications aiguës et chroniques liées à la maladie tout au long de leur vie. Ces complications ont un impact direct sur leur QVLS.¹⁴
- La QVLS est un concept multidimensionnel utilisé pour évaluer quantitativement l’impact de l’état de santé d’une personne sur sa qualité de vie. La QVLS englobe la santé psychosociale, la santé physique, la santé émotionnelle, les capacités sociales et d’autres fonctions de la vie quotidienne.^{14,15}
- De nombreuses mesures génériques validées de la QVLS sont disponibles pour évaluer les patients, notamment PedsQL,^{16,17} PROMIS,^{18,19} et SF-36,²⁰ entre autres. Plus récemment, des mesures de QVLS spécifiques à la maladie ont été testées et validées chez les patients atteints de drépanocytose, notamment le module ASCQ-Me^{21,22} et le module PedsQL dans la drépanocytose.^{23,24}
- Du point de vue de la recherche, des évaluations quantitatives de la QVLS chez les patients atteints de drépanocytose peuvent être réalisées à diverses fins, notamment pour comparer des groupes de patients à des témoins sains et pour évaluer l’impact d’un nouveau traitement. De plus, la QVLS est un résultat important centré sur le patient dans la drépanocytose qui leur permet de participer directement à leurs soins.^{25,26}

OBJECTIF

- L’objectif de cette étude était de réaliser une RSL pour synthétiser la littérature sur la qualité de vie liée à la santé et ses déterminants dans les populations de patients pédiatriques et adultes atteints de drépanocytose en Europe.

MÉTHODES

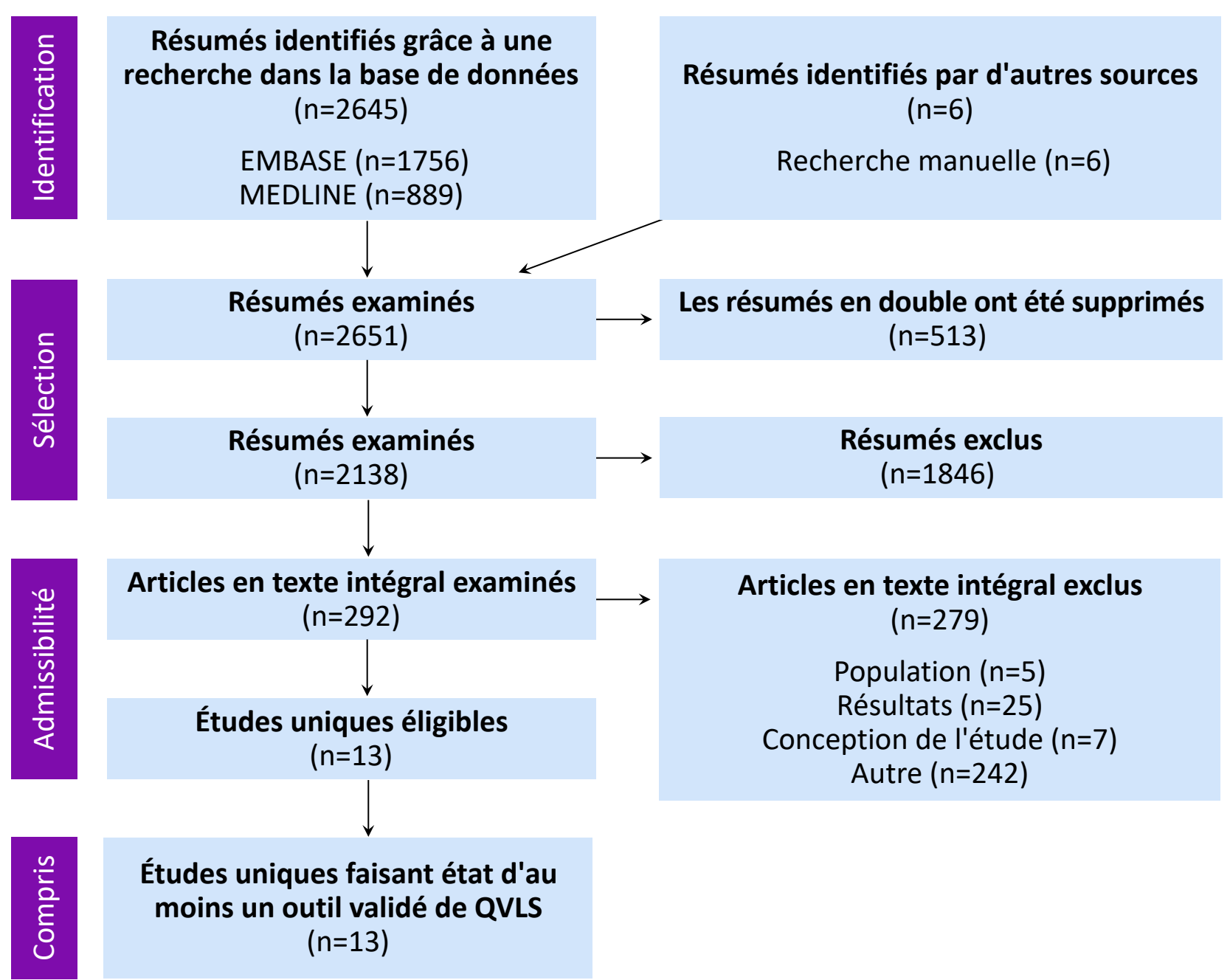
- Une RSL a été réalisée en utilisant EMBASE et MEDLINE. Des recherches ont été effectuées dans ces bases de données du 1er janvier 2009 au 20 juillet 2022. Des recherches manuelles ultérieures ont été effectuées en janvier 2023, septembre 2023 et mai 2024 pour identifier toute étude supplémentaire publiée depuis la date de recherche initiale.
- Une revue des principales conférences tenues entre 2021 et 2023 ont également été réalisées pour identifier les études (notamment la Conférence européenne sur les maladies rares, le Congrès mondial sur la drépanocytose, la réunion annuelle de l’American Society of Hematology et le Congrès de l’European Hematology Association).
- Des études observationnelles ou interventionnelles rapportant les résultats d’une évaluation de la QVLS dans un établissement pédiatrique et/ou une population adulte atteinte de drépanocytose en Europe ont été incluses. Le **tableau 1** détaille les critères d’éligibilité.
- La sélection des études et l’extraction des données ont été effectuées par un seul évaluateur et validées par un second. Les données ont été analysées qualitativement compte tenu de l’hétérogénéité entre les études.

Tableau 1 : Critères d'admissibilité aux études	
Critères	Description
Population	Patients pédiatriques ou adultes de sexe masculin ou féminin chez qui une drépanocytose a été confirmée (HbSS, HbSC, HbSβ ⁰ , HbSβ ⁺ , et d'autres variantes génotypiques)
Intervention	Sans objet
Résultats	Outils/mesures de la QVLS validés (par exemple, PedsQL, EQ-5D, ACSQ-Me, PROMIS)
Conception de l'étude	Études observationnelles (y compris les études observationnelles rétrospectives et prospectives et les études transversales) Études interventionnelles (y compris les essais cliniques randomisés et non randomisés et les analyses post-hoc)
Année de publication	2009 à Mai 2024
Géographie	Région européenne de l'Organisation mondiale de la santé

RÉSULTATS

- Au total, 2 645 résumés ont été identifiés dans les bases de données électroniques et 6 ont été identifiés à partir d’une recherche manuelle. Parmi les 292 études éligibles à une revue du texte intégral, 13 d’entre elles ont fait état d’au moins un outil de QVLS validé (**Figure 1**).
- Les niveaux des études et les caractéristiques participant/patient sont présentées dans les **tableaux 2 et 3**.
- Onze études étaient transversales et deux étaient des cohortes longitudinales. Toutes les études ont rapporté le nombre de patients, allant de 10 à 592.
- Cinq études ont été menées aux Pays-Bas, quatre au Royaume-Uni et une en France, en Italie, en Grèce et au Portugal.
- Cinq études ont évalué des patients pédiatriques, 6 ont évalué des patients adultes et 2 ont évalué les deux. Onze études ont rapporté le génotype ; la plupart des patients avaient soit des sous-types HbSS, soit des sous-types HbSβ⁰.

Figure 1 : Diagramme de sélection des études des PRISMA



POPULATION PÉDIATRIQUE

- En utilisant le module générique PedsQL, la QVLS a été rapportée comme étant inférieure chez les enfants atteints de drépanocytose par rapport à un groupe témoin au Portugal ; les résultats étaient cohérents dans les deux rapports parentaux (score t moyen 69,5 ± 16,4 contre 83,2 ± 10,5, p < 0,001) et les auto-déclarations de l'enfant (score t moyen 67,1 ± 15,8 contre 81,7 ± 9,5, p < 0,001) (plage de 0 à 100, 100 étant une qualité de vie liée à la santé parfaite).¹ Les rapports de l'enfant lui-même ont montré des scores de qualité de vie liés à la santé inférieurs à ceux des parents. La douleur était un facteur prédictif d'une mauvaise QVLS en général, le sexe féminin était un facteur prédictif de faibles scores émotionnels et les hospitalisations étaient un facteur prédictif de faibles scores scolaires.¹
- Les enfants atteints de drépanocytose âgés de 2 à 4 ans ne présentaient pas de différence en termes de QVLS (en utilisant le module générique PedsQL) par rapport à une population témoin non atteinte de drépanocytose aux Pays-Bas ; cependant, ceux âgés de 5 à 7 ans étaient plus susceptibles d'avoir une QVLS moins bonne que les témoins (score t moyen de 73,9 ± 16,3 contre 86,1 ± 11,6, p < 0,001).⁷ Chez les enfants âgés de 0 à 1 an, la qualité de vie liée à la santé (en utilisant TAPQOL) était pire chez les patients atteints de drépanocytose en ce qui concerne les problèmes de peau (p=0,002) et de l'humeur (p < 0,001).⁷
- Chez les enfants britanniques atteints de drépanocytose, la somnolence (évaluée par l'échelle de somnolence d'Epworth), la charge de la douleur, le nombre de visites aux urgences et le dysfonctionnement exécutif (évalué par BRIEF) prédisaient chacun la QVLS sur le module PedsQL drépanocytose (chaque p < 0,05).⁶

RÉSULTATS (suite)

- En utilisant KIDSCREEN-52, la QVLS était inférieure chez les enfants atteints de drépanocytose par rapport à la population normale aux Pays-Bas pour le bien-être physique, l'humeur et les émotions, l'autonomie, les relations parentales et les ressources financières (chaque p < 0,05).⁵ Les patients atteints de drépanocytose présentaient également un bien-être physique inférieur à celui de leurs frères et sœurs en bonne santé aux Pays-Bas (p < 0,05).⁵
- Chez les enfants néerlandais hospitalisés pour une CVO, une QVLS inférieure (en utilisant le module générique PedsQL) a été signalée par rapport à ceux sans hospitalisation (score t moyen 75,0 ± 1,5 contre 80,0 ± 1,3, p < 0,02).¹³

POPULATION ADULTE

- En utilisant le SF-36, la QVLS a été signalée comme étant inférieure chez les adultes atteints de drépanocytose par rapport à la population générale (grecque) à la fois sur le PCS et le MCS.¹¹ Le sexe féminin, l'éducation, l'âge, une transfusion antérieure, le stress / la dépression, la chélation du fer, la fréquence des infections et la comorbidité ont toutes eu un impact sur la qualité de vie liée à la santé. ¹¹
- Aux Pays-Bas, les femmes ont déclaré une QVLS inférieure à celle des hommes dans le SF-36 PCS (score t moyen de 36,9 ± 11,9 contre 42,5 ± 10,9, p < 0,001) et le MCS (score t moyen 43,9 ± 12,1 contre 48,4 ± 12,6, p < 0,03) (plage de 0 à 100, 100 étant une QVLS parfaite).¹² Le MSC a également été signalé comme étant plus faible chez les patients ayant ≥ 1 hospitalisation pour une CVO par an par rapport à l'absence d'hospitalisation (score t médian de 36,7 contre 50,6).¹²

Tableau 2 : Caractéristiques du niveau d'étude						
Étude	Type de publication	Pays	Population	Mesures de la qualité de vie liée à la santé	Nombre de patients, n	Conception de l'étude
Abadesso et al. 2022 ¹	Manuscrit	Portugal	Pédiatrique	PedsQL (module générique)	136	Étude cas-témoins ou transversale
Anie et al. 2012 ²	Manuscrit	Royaume-Uni	Adulte	EQ-5D	510	Étude de cohorte
Cooper et al. 2019 ³	Manuscrit	Royaume-Uni	Adulte	ASCQ-Me	173	Étude transversale
Dovern et al. 2023 ⁴	Manuscrit	Pays-Bas	Adulte	PROMIS*	10	Étude transversale
Hijmans et al. 2010 ⁵	Manuscrit	Pays-Bas	Pédiatrique	KIDSCREEN-52	76	Étude cas-témoins ou transversale
Hood et al. 2021 ⁶	Manuscrit	Royaume-Uni	Pédiatrique	PedsQL (module drépanocytose)	30	Étude cas-témoins ou analyse post-hoc
Houwwing et al. 2022 ⁷	Manuscrit	Pays-Bas	Pédiatrique	PedsQL (module générique) ; TAPQOL	272	Étude transversale
Lanzkron et al. 2022 ⁸	Résumé de la conférence	Royaume-Uni	Adulte	ACSQ-Me	592	Étude transversale
Munaretto et al. 2021 ⁹	Résumé de la conférence	Italie	Pédiatrique et adulte	PROMIS*	68	Étude transversale
Thuret et al. 2009 ¹⁰	Manuscrit	France	Pédiatrique et adulte	Enquête abrégée de 36 questions (SF-36)	17	Étude transversale
Tsironi 2014 ¹¹	Résumé de la conférence	Grèce	Adulte	EQ-5D ; SF-36	102	Étude transversale
van Tuijn et al. 2010 ¹²	Manuscrit	Pays-Bas	Adulte	SF-36	93	Étude transversale
Vuong et al. 2023 ¹³	Manuscrit	Pays-Bas	Pédiatrique	PedsQL	109	Étude de cohort

*Munaretto et al. ont noté l'utilisation du Parent Proxy Profile-49, du Pediatric Profile-49 et du Pediatric Profile-57 ; Dovern et al. n'ont pas noté le questionnaire utilisé.

Tableau 3 : Caractéristiques des patients/participants									
Étude	Caractéristiques de la population	Sous-groupes de population	N patients, n	Âge en années, moyenne (écart type) ou médiane (écart interquartile ou fourchette)	Sexe masculin, n (%)	HbSS ou HbSβ ⁰ , n (%)	HbSC ou HbSβ ⁺ , n (%)	Utilisation actuelle de l'hydroxyurée, n (%)	
Abadesso et al. 2022 ¹	Patients pédiatriques atteints de drépanocytose âgés de 3 à 18 ans et groupe témoin apparié	Patients pédiatriques atteints de drépanocytose	68	10.1 (4.5)	56 (82.4)	65 (95.6)	2 (2.9)	ND	
		Groupe témoin pédiatrique non drépanocytaire	68	9.8 (4.1)	52 (78.8)	Sans objet	Sans objet	Sans objet	
Anie et al. 2012 ²	Patients adultes atteints de drépanocytose admis en hôpital de jour ou en unités d'hospitalisation	Global	510	28.9 (10.2)	199 (39.0)	ND	ND	ND	
Cooper et al. 2019 ³	Patients adultes atteints de drépanocytose âgés de ≥ 18 ans	Global	173	36.1 (12.5)	69 (39.9)	132 (76.3)	36 (20.8)	ND	
Dovern et al. 2023 ⁴	Patients adultes atteints de drépanocytose âgés de ≥ 16 ans ayant subi une GCSH	Global	10	29.5 (19-49)*	4 (40.0)	10 (100)	0	ND	
Hijmans et al. 2010 ⁵	Patients pédiatriques atteints de drépanocytose et leurs frères et sœurs en bonne santé âgés de 6 à 18 ans	Patients pédiatriques atteints de drépanocytose	40	11.7 (3.1)	20 (50.0)	40 (100)	0	ND	
		Frères et sœurs en bonne santé	36	11.6 (3.4)	18 (50.0)	Sans objet	Sans objet	Sans objet	
Hood et al. 2021 ⁶	Patients pédiatriques atteints de drépanocytose âgés de 8 à 16 ans	Global	30	12.3 (2.1)	18 (60.0)	30 (100)	0	16 (53.3)	
Houwwing et al. 2022 ⁷	Patients pédiatriques atteints de drépanocytose âgés de 0 à 7 ans et groupe témoin apparié	Patients pédiatriques atteints de drépanocytose âgés de 0 à 1 an	46	1.1 (0.5)	25 (54.3)	23 (50.0)	14 (30.4)	ND	
		Patients pédiatriques atteints de drépanocytose âgés de 2 à 4 ans	19	3.6 (0.7)	10 (52.6)	10 (52.6)	6 (31.6)	ND	
		Patients pédiatriques atteints de drépanocytose âgés de 5 à 7 ans	93	6.6 (0.7)	53 (57.0)	55 (59.1)	33 (35.5)	ND	
		Groupe témoin pédiatrique non drépanocytaire âgé de 0 à 1 an	227	1.0 (0.5)	114 (50.2)	Sans objet	Sans objet	Sans objet	
		Groupe témoin pédiatrique non drépanocytaire âgé de 2 à 4 ans	293	3.5 (0.9)	156 (53.2)	Sans objet	Sans objet	Sans objet	
Lanzkron et al. 2022 ⁸	Patients adultes atteints de drépanocytose inscrits dans les registres CoUSin et GRNDaD	Patients atteints de drépanocytose au Royaume-Uni (CoUSin)	106	39 (26-50)	64 (60)	66 (62)	ND	ND	
		Patients atteints de drépanocytose aux États-Unis (GRNDaD)	486	35 (27-45)	267 (55)	282 (58)	ND	ND	
Munaretto et al. 2021 ⁹	Patients pédiatriques et adultes atteints de drépanocytose pendant les soins standard et après une GCSH	Global	68	16.4	51 (75)	50 (74)	ND	(34)	
Thuret et al. 2009 ¹⁰	Patients pédiatriques et adultes atteints de drépanocytose âgés de ≥ 7 ans suivant un traitement par chélation avec deferoxamine**	Global	17**	29.2 (14.2)	6 (35)	ND	ND	ND	
Tsironi 2014 ¹¹	Patients adultes atteints de drépanocytose	Global	102	45.2 (11.6)	ND	85 (83.4)	ND	ND	
van Tuijn et al. 2010 ¹²	Patients adultes atteints de drépanocytose âgés de ≥ 18 ans	Global	94	28.1 (22.6-40.3)	33 (35.1)	56 (59.6)	38 (40.4)	ND	
Vuong et al. 2023 ¹³	Patients pédiatriques atteints de drépanocytose âgés de 8 à 18 ans	Global	94	11.8 (9.3-14.1)	60 (63.8)	57 (60.6)	35 (37.2)	47 (50.0)	
		Patients n'ayant pas été hospitalisés pour CVO	57	13.0 (9.5-5.0)	36 (63.2)	24 (42.1)	33 (89.2)	18 (31.6)	
	Patients hospitalisés pour CVO		37	10.7 (9.3-14.1)	24 (64.9)	31 (54.4)	4 (10.8)	29 (78.4)	

*Âge à la GCSH, année. **L'étude incluait également la bêta-thalassémie et les syndromes myélodysplasiques ; parmi les 17 patients atteints de drépanocytose, un était âgé de < 14 ans et 16 étaient âgés de ≥ 14 ans.

CONCLUSIONS

- Les patients pédiatriques et adultes atteints de drépanocytose ont une QVLS inférieure à celle des populations témoins de l'étude et/ou la population générale en Europe, quel que soit l'outil utilisé.
- L'intensité de la douleur semble être un facteur prédictif important d'une QVLS plus mauvaise et les patients hospitalisés avec et sans CVO ont tendance à avoir une QVLS plus mauvaise.
- Le sexe féminin, le faible statut socioéconomique, la maladie grave et les comorbidités semblent également avoir un impact sur la QVLS chez les patients atteints de drépanocytose.
- Immédiatement après la GCSH, des améliorations de la QVLS ont été observées chez les patients atteints de drépanocytose par rapport à ceux recevant des traitements standard et à la population générale.

- La plupart des études étaient de nature transversale. Les données à long terme sur la QVLS chez les patients atteints de drépanocytose sont limitées et sont particulièrement nécessaires pour les études interventionnelles (par exemple, après une greffe de cellules souches hématopoïétiques).
- Bien qu'il y ait eu un manque d'homogénéité dans les outils utilisés pour évaluer la QVLS chez les patients atteints de drépanocytose en Europe, les conclusions étaient généralement cohérentes entre les études.

Abréviations : ASCQ-Me, Système d'information sur la mesure de la qualité de vie chez l'adulte avec la drépanocytose ; BRIEF, Inventaire du comportement des fonctions exécutives ; CVO, crise vaso-occlusive ; EMBASE, Base de données Excerpta Medica ; EQ-5D, Qualité de vie européenne ; Dimensions ; EVA, échelle visuelle analogique de l'intensité de la douleur ; GCSH, greffe de cellules souches hématopoïétiques ; HbSβ⁰, thalassémie β⁰ drépanocytaire ; HbSβ⁺, drépanocytose β plus thalassémie ; HbSC, hétérozygote pour la drépanocytose ; HbSS, homozygote pour la drépanocytose ; KIDSCREEN-52, Echelle de l'usage de la qualité de vie liée à la santé 52 items ; MEDLINE (ou MEDARS), Système d'analyse et de recherche de la littérature médicale ; MCS, score de la composante mentale ; ND, non signalé ; PCS, Score de la composante physique ; PedsQL, Inventaire de la qualité de vie pédiatrique ; PRISMA, Éléments de rapport préférés pour les revues systématiques et les méta-analyses ; PROMIS, Système d'information sur la mesure des résultats rapportés par les patients ; QVLS, qualité de vie liée à la santé ; RSL, revue systématique de la littérature ; SF-36, Enquête abrégée 36 items ; S.O., sans objet ; TAPQOL, TNO-AZL Qualité de vie des enfants d'âge préscolaire. Références : 1. Abadesso et al. Identifier PubMed (PMID): 35205003; 2. Anie et al. PMID: 22761289; 3. Cooper et al. PMID: 31036017; 4. Dovern et al. PMID: 36534737; 5. Hijmans et al. PMID: 20577722; 6. Hood et al. PMID: 34584262; 7. Houwing et al. PMID: 34699122; 8. Lanzkron et al. DOI:10.1183/blood-2022-165504; 9. Munaretto et al. DOI:10.1183/blood-2021-151297; 10. Thuret et al. PMID: 19941377; 11. Tsironi. DOI:10.4081/thal.2014.4881; 12. van Tuijn et al. PMID: 20575034; 13. Vuong et al. PMID: 37749772; 14. Rodigari et al. PMID: 36090573; 15. Osunkwo et al. PMID: 33264445; 16. Varni et al. PMID: 14616041; 17. Paneppinto et al. PMID: 18776758; 18. Cella et al. PMID: 17442316; 19. Singh et al. PMID: 30680017; 20. Ware et al. PMID: 15593914; 21. Treddwell et al. PMID: 24300219; 22. Keller et al. PMID: 25146160; 23. Paneppinto et al. PMID: 21638090; 24. Paneppinto et al. PMID: 23441057; 25. Singh et al. PMID: 33034214; 26. Farrell et al. PMID: 31809538

Remerciements : Cette étude a été sponsorisée par Pfizer. Le soutien à la mise en page de cette affiche a été fourni par Geraldine Thompson de Engage Scientific Solutions, Ltd, et financé par Pfizer ; aucune contribution n'a été apportée au contenu éditorial. Déclarations : GTB, FD et CLB : employés et actions ou options sur actions de Pfizer. TP et AS : anciens salariés de Pfizer. ED : employé et actions ou stock-options de Pharmalytics Group, qui a reçu un financement de Pfizer pour cette étude. JWL : ancien employé du Groupe Pharmalytics. Copyright © 2025.

Poster électronique

Veuillez scanner ce code QR avec votre application smartphone pour visualiser une version électronique de cette affiche. Si vous n'avez pas de smartphone, accédez à l'adresse via Internet à l'adresse : <https://identifiquis.congresseurope.com/p/5f8wbf0jdnu>

Les copies de cette affiche obtenues à partir du code QR sont à usage personnel uniquement et ne peuvent être reproduites sans la permission écrite des auteurs