

VU Research Portal

Pediatric acute lymphoblastic leukemia: Quality of life and cost-effectiveness of treatment

van Litsenburg, R.R.L.

2012

document version

Publisher's PDF, also known as Version of record

[Link to publication in VU Research Portal](#)

citation for published version (APA)

van Litsenburg, R. R. L. (2012). *Pediatric acute lymphoblastic leukemia: Quality of life and cost-effectiveness of treatment*.

General rights

Copyright and moral rights for the publications made accessible in the public portal are retained by the authors and/or other copyright owners and it is a condition of accessing publications that users recognise and abide by the legal requirements associated with these rights.

- Users may download and print one copy of any publication from the public portal for the purpose of private study or research.
- You may not further distribute the material or use it for any profit-making activity or commercial gain
- You may freely distribute the URL identifying the publication in the public portal ?

Take down policy

If you believe that this document breaches copyright please contact us providing details, and we will remove access to the work immediately and investigate your claim.

E-mail address:

vuresearchportal.ub@vu.nl

Résumé en Français

La leucémie lymphatique aiguë chez les enfants: la qualité de vie et le rapport coût-efficacité des traitements

La leucémie lymphatique aiguë (LLA), une forme de cancer du sang, est le cancer le plus répandu chez les enfants. Le taux de survie à la LLA a beaucoup augmenté durant ces dernières décades; de nos jours environ 85 % des enfants atteints survivent à cette maladie. On pense que dans un proche avenir 90 % des enfants atteints survivront.

Suite à cette amélioration l'intérêt porté aux autres aspects de la santé, comme la qualité de vie (QdV) et le rapport coût-efficacité des traitements, a considérablement augmenté. Bien que la QdV s'améliore durant le traitement, les survivants à la LLA ont souvent une QdV inférieure aux enfants en bonne santé. Si les enfants, souffrant d'une QdV moindre ou dont la QdV s'améliore plus lentement, sont dépistés à temps, il est possible de les aider plus tôt et plus efficacement.

Parallèlement aux critères d'évaluation cliniques qui comptent pour le patient, telles que la survie et la QdV, il y a d'autres critères qui sont également importants pour la société, comme le rapport coût-efficacité. Dans le futur le traitement de la LLA s'améliorera de plus en plus lentement et entrainera des charges financières plus élevées. La pression sur les moyens financiers nécessite une évaluation soignée des coûts par rapport aux résultats du traitement (survie, effets secondaires et QdV).

Cette thèse est consacrée à deux aspects du traitement d'enfants souffrant de LLA. Premièrement l'évolution de la QdV pendant et après le traitement et ses déterminants (et leurs variations), et deuxièmement au rapport coût-efficacité du traitement. Plusieurs études ont mesuré la QdV au moyen de questionnaires qui, en raison de la jeunesse et de la maladie des enfants, sont pour la plupart remplis par les parents ; les coûts de traitement ont été inventoriés par l'étude des dossiers.

Le **premier chapitre** explique les raisons de cette thèse: les aspects médicaux de la LLA, les effets secondaires du traitement, la QdV, le sommeil et les estimations économiques.

Le **deuxième chapitre** donne un résumé des études publiées jusqu'en 2011 sur la QdV des enfants durant et après le traitement de la LLA. Ces études démontrent que, suivant les parents et leurs enfants la QdV est mauvaise durant le traitement et s'améliore ensuite; les survivants trouvent que presque tous les aspects leur QdV se normalisent. Les parents estiment la QdV de leurs enfants plus mauvaise que les enfants eux-mêmes. Les survivants jugent leur QdV équivalente aux enfants en bonne santé et supérieure sur un plan social. La qualité de la méthodologie de ces études était souvent moins que optimale ; il est donc impossible de tirer des conclusions quant aux déterminants.

Le **troisième chapitre** traite de la LLA pendant la première phase du traitement, la phase la plus intensive, la thérapie d'induction. La QdV des patients était beaucoup plus mauvaise que celle d'enfants en bonne santé. Les filles et les enfants plus âgés avaient

souvent une QdV plus mauvaise. Les pères estiment que la QdV de leurs enfants est plus mauvaise que ne le pensent leurs mères.

Le **quatrième chapitre** traite l'évolution de la QdV de ces patients durant la suite du traitement. La QdV s'améliore au fil des ans mais reste, après la fin du traitement, inférieure à celle d'enfants en bonne santé. Durant cette phase la QdV est surtout déterminée par l'intensité du traitement et par d'éventuelles complications. D'autre part les parents instruits signalent une QdV moins élevée que les parents peu instruits.

Le **cinquième chapitre** est consacré au traitement de la LLA par le Dexaméthason. Le Dexaméthason a beaucoup d'effets secondaires et nous pensions que cela aurait un effet négatif sur la QdV. Les parents et les enfants nous l'ont confirmé.

Le **sixième chapitre** examine le rapport entre le sommeil et la QdV. Les enfants atteints de LLA connaissent plus de problèmes de sommeil que les enfants en bonne santé. Les problèmes de sommeil vont de pair avec une QdV inférieure et constituent de fait une ouverture pour des interventions visant à améliorer la QdV.

Le **septième chapitre** présente un résumé actualisé des publications sur les côtes utilitaires pour les enfants atteints de la LLA. Les côtes utilitaires représentent l'évaluation par tous les citoyens de leur niveau de santé. Cela permet de calculer la QdV, corrigée en l'espérance de vie (*quality adjusted life years*, QALY). Le QALY est utilisé pour faire des choix bien réfléchis lors d'évaluations à caractère économique. Les informations disponibles sur les côtes utilitaires pour les enfants atteints de LLA sont rares et, d'un point de vue méthodologique, malheureusement d'une qualité médiocre. D'autre part il n'y a pas de côtes utilitaires disponibles pour les survivants à court terme.

Le **huitième chapitre** concerne les côtes utilitaires pour les survivants à court terme. Bien que dans 61 % des cas il n'y ait pas de problèmes de santé signalés, on constate cliniquement une baisse de la QdV par rapport aux enfants en bonne santé. Dans l'avenir il sera toujours nécessaire d'effectuer des études approfondies sur les côtes utilitaires pour enfants et survivants de la LLA.

Le **neuvième chapitre** traite les résultats des analyses de rapports coût-efficacité du traitement de la LLA exclusivement par chimiothérapie. L'utilisation de médicaments meilleurs et plus coûteux et une nouvelle technique de mesure des réactions au traitement, ont résulté en un traitement plus cher mais plus efficace. Les coûts par année de vie gagnée sont largement dans les normes de côtes utilitaires acceptées internationalement.

Le **dixième chapitre** place les résultats des études présentées dans cette thèse en perspective. La tendance générale se traduit par une amélioration de la QdV dans le temps. Les déterminants de la QdV peuvent être divisés en facteurs médicaux et en variables intermédiaires (comme enfants, parents et environnement). Les études décrites dans cette thèse montrent que les facteurs médicaux jouent un grand rôle, surtout après la thérapie d'induction. Les facteurs parents et enfants jouent également

un rôle, mais il est moins important. Les variables potentiellement importantes, comme le fonctionnement psychosocial des parents, n'ont pas été étudiées, mais il y a de fortes indications dans la littérature que ces facteurs jouent aussi un rôle. Ce chapitre passe également en revue la littérature existante (et peu abondante) sur les charges financières pour les parents d'enfants atteints de LLA, les frais encourus après la fin du traitement et les côtes utilitaires. Notre conclusion est que ces aspects du traitement d'enfants atteints de LLA n'ont pas encore reçus l'attention voulue. Le chapitre se termine par la recommandation de poursuivre des recherches et insiste sur la nécessité d'un suivi systématique des enfants atteints de LLA.

