

Analyse coût/efficacité de deux techniques de résection des petites tumeurs du rectum : résection endoscopique sous-MUqueuse *vs.* résection locale Chirurgicale par TEM - Etude intergroupes GRECCAR – FRENCH.

Essai MUCEM.

Résumé de l'étude

Introduction :

Deux types d'exérèse locale existent pour les « petites » tumeurs du rectum (PTR) (adénomes, lésions précancéreuses et adénocarcinome classé uT1N0) : la résection chirurgicale par transanal endoscopique microsurgery (TEM) et la résection endoscopique sous-muqueuse (ESD). La TEM permet un taux d'exérèse complète (TEC) de 88,5%. L'ESD, technique innovante, permet un TEC de 84% (séries européennes). Il n'existe pas à l'heure actuelle en contexte français ou international d'évaluation médico-économique comparant l'efficacité de ces deux techniques. Au regard des données disponibles, le rationnel d'une telle évaluation est fondé sur des différences de coût en faveur de l'ESD en termes de: coût des dispositifs médicaux, modalités de prise en charge (ambulatoire ou conventionnelle), durée de séjour, temps opératoire, coût de bloc, taux de complications et leur gestion, morbidité de la proctectomie de rattrapage.

Le but de cette étude est de comparer le rapport coût/efficacité de la TEM et de l'ESD, technique innovante, pour les PTR. Le critère d'efficacité sera le TEC.

Méthodes :

1/Objectifs

L'objectif principal est l'analyse coût-efficacité des deux procédures (TEM et ESD), l'efficacité étant définie par le TEC, dans les PTR. Les objectifs secondaires sont de comparer les: coût-utilité (combinant qualité de vie et survie globale), TEC, taux de résection monobloc, de marges en dysplasie de bas grade, morbidité postopératoire, morbidité de la proctectomie de rattrapage (le cas échéant), survies sans récurrence et globale à 3 ans, taux de récurrence locale et à distance à 3 ans, évaluation de la qualité de vie préopératoire et à 1 mois, 6 mois et 1 an.

2/Population

Les critères d'inclusion sont : patients ≥ 18 ans, présentant une PTR pouvant être traitée alternativement par TEM ou ESD. Les critères de non inclusion sont : résection « palliative » T2/3/4 ou N+, radiochimiothérapie préopératoire (downstaging), cancer métastatique, personnes vulnérables au sens de la réglementation française. Chaque patient participera entre 12 et 36 mois à l'étude.

3/Design

Il s'agit d'une étude prospective multicentrique comparative quasi-expérimentale, « ici-ailleurs ». En effet, une étude comparative par randomisation classique des patients n'est pas réalisable: la courbe d'apprentissage de l'ESD est de 40 cas, c'est donc une technique de centre expert ; de plus, les centres endoscopiques et chirurgicaux sont géographiquement éloignés les uns des autres.

La méthodologie sera basée sur les guides Consolidated Standards of Reporting Trials Statement. L'analyse principale sera réalisée en intention de traiter. Une analyse secondaire sera réalisée sur la population per protocole. Le seuil de significativité sera fixé à 0,05. Aucune analyse intermédiaire n'est programmée.

Des ajustements sur les principaux paramètres de confusion (âge, indice de masse corporelle, score ASA, antécédent de chirurgie pelvienne, localisation par rapport à la marge

anale, taille tumorale) seront réalisés. Des scores de propension seront proposés par des approches bayésiennes.

4/Données

Le calcul réalisé sera celui du coût par efficacité additionnelle à 1 an de l'ESD (technique innovante) par rapport à la TEM, le critère d'efficacité étant le TEC. Les coûts directs médicaux hospitaliers et ambulatoires seront pris en compte. Les arrêts de travail seront documentés mais non valorisés. Un micro-costing sera effectué sur les centres incluant >1 patients par mois. Une analyse statistique des données et traitement des données manquantes, ainsi qu'une analyse de sensibilité seront effectuées. Le calcul d'effectifs est basé sur le bénéfice net incrémental et sur un recueil rétrospectif de données de coûts. Il repose sur les hypothèses suivantes: différentiel TEC=4%, différentiel coûts=440€, $\lambda=2500\text{€}$. Au risque alpha bilatéral de 5% et à une puissance de 80%, le nombre de patients à inclure est égal à 410. Avec un taux de perdus de vue de 5%, ce nombre s'élève à 430 (215 par groupe).

5/Faisabilité

Le traitement des patients n'est pas modifié par l'étude, et ce projet suscite la motivation à participer de la plupart des centres experts pratiquant ces techniques : les effectifs attendus sont supérieurs aux effectifs nécessaires. Enfin, trois sociétés savantes soutiennent l'étude et participeront à l'inclusion: le GRECCAR (Groupe de Recherche Chirurgicale sur le Cancer du Rectum), la FRENCH (Fédération de Recherche EN Chirurgie) et la SFED (Société Française d'Endoscopie Digestive).

Conclusion: Cette étude permettrait de comparer prospectivement les résultats économiques et oncologiques de la TEM et de l'ESD, et de choisir la stratégie optimale.