

Questionnaire de recueil du point de vue des patients et usagers pour l'évaluation d'un médicament

Commission de la transparence - Commission de l'évaluation économique et de santé publique

Evaluation de : Nintédanib Indication(s) du médicament concerné : fibrose pulmonaire de la sclérodermie systémique

Merci de lire le Guide pour les associations de patients et d'usagers avant de remplir le questionnaire. Une fois le questionnaire complété, nous vous conseillons de supprimer les encadrés d'aide (zones grisées) pour gagner de la place et améliorer la lisibilité.

Nom et adresse de l'association : Association des Sclérodermiques de France – Chez Mr Christian DAMON, 136 rue des Mouises 45130 BACCON

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour remplir le questionnaire et notamment la nature des informations mobilisées (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail : **conseil scientifique de l'ASF et témoignages de patients (n=2), l'enquête s'est déroulée entre le 15 août et le 15 septembre**, ligne téléphonique, nombre de participants, ... avec les périodes concernées).

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?
Les membres du conseil scientifique de l'ASF et de témoignages de patients.

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures et quelle est leur nature ? **Non**

2. Impact de la maladie / état de santé

2.1 Comment la maladie (ou l'état de santé) pour laquelle le médicament est évalué affecte-t-elle la qualité de vie des patients (court terme, long terme) ? Quels aspects posent le plus de difficultés ?

La fibrose pulmonaire touche 40 à 50% des patients avec sclérodermie systémique particulièrement les formes diffuses mais aussi les formes limitées. 1 fois sur 3 environ, cette atteinte pulmonaire est extensive avec un retentissement fonctionnel majeur à type de dyspnée à l'effort à l'origine de fatigue et d'anxiété, d'incapacité à effectuer les actes de la vie quotidienne avec un retentissement social et professionnel majeur et parfois une

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

aide dans la vie quotidienne. La fibrose pulmonaire peut avoir des conséquences importantes sur l'activité professionnelle et un bon nombre de patients sont en invalidité.

Les formes sévères ou évolutives de la fibrose pulmonaire sont traitées habituellement par immunosuppresseurs avec une augmentation du risque infectieux et parfois des problèmes de tolérance.

L'oxygénothérapie est aussi parfois nécessaire soit en continu soit au cours des efforts.

2.2 Comment la maladie (ou l'état de santé) affecte-t-elle l'entourage (famille, proches, aidants...) ?

La dyspnée d'effort ou de repos liée à la fibrose pulmonaire est un handicap chronique. Elle entraîne une fatigue chronique et une limitation des activités professionnelles et quotidiennes ce qui peut avoir pour conséquence :

- *Une rupture de l'équilibre familial*
- *Des retentissements psychologiques et intimes importants.*
- *Une réduction du temps de travail, Beaucoup de patients sont en invalidité*
- *La nécessité de soins rapprochés (consultation, explorations fonctionnelles respiratoires, examens radiologiques, discussions thérapeutiques) ce qui augmente le poids de la maladie pour les patients et leur entourage*

La fibrose pulmonaire de la sclérodémie systémique n'a à ce jour aucun traitement curateur et son évolution, dans certains cas, peut amener à une possible transplantation pulmonaire.

Tout ceci est aussi une source de stress et d'état dépressif fréquents pour le patient et son entourage.

3. Expérience avec les thérapeutiques actuelles autres que celles évaluées

3.1 Selon vous, quelles sont actuellement les thérapeutiques les plus adaptées ? Leurs avantages et inconvénients ?

Par thérapeutique, il faut entendre toute forme d'intervention (utilisation d'un médicament, dispositif médical, rééducation, suivi psychologique, prises en charge hospitalières, médecine alternative ou complémentaire, ... etc). Si aucune thérapeutique n'est disponible, ceci doit être mentionné.

Si l'indication du médicament concerne une phase particulière de la maladie, les enjeux décrits devront en tenir compte.

Il n'y a à ce jour pas de traitement curateur de la fibrose pulmonaire de la sclérodémie systémique. Les traitements restent symptomatiques :

- *Immunosuppresseurs par voie orale ou par voie intraveineuse. Les administrations intraveineuses justifient la venue régulière du patient en hospitalisation de jour habituellement. Ces immunosuppresseurs sont source d'augmentation du risque infectieux ;*
- *Parfois une corticothérapie à faible dose est proposée sur le long cours, source de dommages cutané, oculaire, osseux et métabolique sur le long cours. Une corticothérapie est source d'augmentation du risque infectieux ;*
- *Certaines biothérapies sont parfois proposées comme le RITUXIMAB ou le TOCILIZUMAB imposant aussi des hospitalisations itératives. Ces biothérapies sont source d'augmentation du risque infectieux ;*
- *L'oxygénothérapie ;*
- *La rééducation fonctionnelle et kinésithérapie respiratoire ;*
- *Soutien psychologique ;*
- *Aide aux aidants.*

La fibrose pulmonaire de la sclérodémie nécessite un suivi régulier en consultation et en hospitalisation avec tous les 3 à 6 mois la réalisation d'épreuves fonctionnelles respiratoires et régulièrement la réalisation de scanner thoracique.

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

3.2 Quelles sont les principales attentes des patients vis-à-vis d'une nouvelle thérapeutique ?

Les patients espèrent l'amélioration de leur qualité de vie et de leur survie et idéalement la guérison.

Mais aussi, le fait de disposer d'un premier produit avec des propriétés anti-fibrosantes :

- 1) Ouvre la voie au développement d'autres produits de cette classe et ciblant les molécules modulées par ce médicament,*
- 2) Laisse envisager dans une maladie complexe et parfois à évolution très péjorative avec réduction de l'espérance de vie, à des combinaisons avec des immunosuppresseurs dont on anticipe qu'elles seront nécessaires pour freiner ou stopper les formes particulièrement évolutives,*
- 3) Représente un tournant évolutif dans une maladie rare dont le seul et unique médicament avec AMM date de 2002.*

4. Expériences avec le médicament évalué

4.1 D'après votre expérience du médicament et celle des autres malades, quelles sont les conséquences positives ou négatives de son utilisation ?

- Conséquences positives : espoir de stabilisation de la fibrose pulmonaire voire de son amélioration. Le médicament se présente sous la forme de comprimés faciles d'usage au quotidien en prise biquotidienne ce qui favorise l'observance. Il n'y a pas suffisamment de recul pour permettre de préciser si le médicament améliore la qualité de vie.*
- Conséquences négatives : effets indésirables attendus du médicament notamment l'accélération du transit intestinal. Cette accélération du transit néanmoins peut être traitée de façon symptomatique.*

Il n'y a pas suffisamment de recul dans l'utilisation du médicament pour évaluer l'impact sur l'entourage ni sur la vie professionnelle et sociale. Le médicament étant disponible aujourd'hui uniquement en ATU, il n'y a pas de notion d'impact financier.

4.2 Si vous n'avez pas d'expérience de ce médicament, et que vous avez connaissance de la littérature, de résultats d'essais, ou de communications, quelles sont selon vous les attentes ou les limites ?

- Les attentes sont l'amélioration de la qualité de vie, de la dyspnée à l'effort et l'amélioration des volumes pulmonaires aux EFR.*
- Les limites sont que le médicament ralentit la dégradation des volumes pulmonaires avec le principal espoir de stabiliser l'évolution naturelle de la maladie (résultats des deux essais thérapeutiques publiés dans la littérature internationale).*

5. Information supplémentaire

Communiquer toute information supplémentaire pouvant aider les membres de la commission dans leur évaluation.

L'ASF propose la venue en commission de patients actuellement sous Nintédanib pour la fibrose pulmonaire de la sclérodermie systémique (patients issus des essais thérapeutiques ou en ATU).

6. Synthèse de votre contribution

Listez les points les plus importants de votre contribution. Ils sont susceptibles d'être rappelés oralement lors de la séance de la commission.

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

Par exemple :

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont la fatigue, l'essoufflement à l'effort, les douleurs, le handicap entraîné dans la vie sociale, professionnelle, relationnelle, familiale et intime. La progression naturelle de la fibrose pulmonaire dans les formes sévères ou extensives se fait vers l'insuffisance respiratoire chronique, l'oxygène-dépendance et par conséquent l'isolement parfois complet du patient au sein de la cellule familiale quand elle existe.

Les thérapeutiques actuelles ont beaucoup de limites du fait parfois de leur mauvaise tolérance, des risques infectieux induits, des conséquences sur le long terme sur le système ostéo-articulaire, le métabolisme et parfois une augmentation du risque de cancer induit. Les traitements actuels surtout ne permettent pas la guérison de la maladie.

Le médicament pourrait répondre à l'attente des patients car il leur apporte un espoir de stabilisation de la fibrose pulmonaire au cours du temps et donc un espoir d'éviter l'évolution vers l'oxygène-dépendance et l'insuffisance respiratoire terminale. Le médicament agit aussi sur une nouvelle voie métabolique de la fibrose ce que ne font pas les médicaments disponibles actuellement.

Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou de nous appeler au 01 55 93 71 18.