

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 : FYCOMPA

Indication(s) du médicament concernées : Extension d'indication « en association dans le ttt des crises d'épilepsie partielles avec ou sans généralisation secondaire chez des enfants âgés de 4 à 11 ans atteints d'épilepsie » et « en association dans le ttt des crises généralisées tonico-cloniques primaires (GTCP) chez les enfants âgés de 7 à 11 ans atteints d'épilepsie généralisée idiopathique

Nom et adresse de l'association : EFAPPE épilepsies sévères.

Adresse postale : 36 rue de St Robert 38120 St Egrève

Adresse mail : efappe@yahoo.fr

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

- Témoignage de parents au fil des années lors de rencontres associatives ou contacts par le n° d'écoute de la fédération
- Questions posées par des parents sur les groupes FB et réponses d'autres parents
- Plus spécifiquement pour répondre à ce questionnaire : réponses de mamans à des questions ouvertes posées sur des groupes FB concernés par ce type de traitement

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?
Françoise Thomas-Vialettes expert EFAPPE (n'est pas concernée à titre personnel par l'usage de ce médicament ni par la tranche d'âge concernée)

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 ?

Chez le jeune enfant avec épilepsie pharmacorésistante, la répétition des crises d'épilepsie a un impact négatif sur le neurodéveloppement pouvant induire des troubles du neurodéveloppement (déficience intellectuelle, troubles du spectre autistique, etc), grande fatigabilité voire risque de mortalité sur crise longue (état de mal).

L'enfant peut avoir fait de nombreux séjours hospitaliers à cause de son épilepsie. (état de mal, blessures, recherche de traitement)

Ces épilepsies peuvent apparaître à des âges divers, la moitié des épilepsies apparaissent avant l'âge de 10 ans, c'est-à-dire durant la période de développement et maturation du cerveau. Plus l'épilepsie apparaît tôt et moins vite elle est contrôlée, plus son impact durable sur l'enfant est important. Mais, à cause de cette période sensible de développement du cerveau, les familles

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

prêtent la plus grande attention aux effets potentiellement délétères qu'un médicament pourrait avoir sur le cerveau de leur enfant. (Balance bénéfico-risque pas toujours facile à objectiver)

L'intégration à l'école peut être mise en échec par la gravité de l'épilepsie, par la fatigabilité de l'enfant suite aux crises, ou par la peur des professionnels de prendre en charge un enfant avec risque de crise.

L'imprévisibilité des crises peut être très difficilement vécue par l'enfant, avec une anxiété associée (sensation de danger imprévisible et incontrôlable), majorée quand l'entourage, les proches sont inquiets eux aussi. L'anxiété de la crise peut devenir elle-même handicapante, avoir un impact sur l'estime de soi et la qualité de vie.

Le risque imprévisible lié à la crise (chute sans préavis, gestes incontrôlés, crise longue) peut imposer une surveillance permanente, voire pour certains enfants aussi la nuit, très préjudiciable à l'autonomisation vis-à-vis de l'adulte, autonomisation qui se met normalement en place durant les tranches d'âge visées par cette évaluation (4 à 11 ans et 7 à 11 ans)

L'enfant est sensible aux réactions de son entourage face aux signes cliniques qu'il donne à voir durant la crise, ce sentiment d'étrangeté, de différence par rapport aux autres et le poids du regard des autres (enfants et adultes) peut être lourd à porter, particulièrement chez les enfants ayant des crises focales avec conscience préservée ou partiellement préservée durant le déroulement de la crise.

Ces épilepsies pharmacorésistantes focales secondairement généralisées ou non ainsi que les GTCP idiopathiques peuvent atteindre de manière très diverses les enfants, certains ont un développement de l'intelligence normal et il faut minorer autant que possible l'impact des crises mais aussi des effets secondaires des ttt pour permettre à l'enfant un cursus scolaire et une vie d'enfant aussi normale que possible. D'autres ont des troubles du neurodéveloppement associés importants, sont en situation de handicap nécessitant une aide dans les actes de la vie quotidienne, voire sont en situation de polyhandicap. Toutes les familles sont à la recherche du traitement qui stopperait les crises sans amener d'effet secondaire néfaste, et ceci dès le plus jeune âge afin que leur enfant soit le moins possible impacté.

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

Les parents sont sur le qui-vive pour assurer la sécurité de l'enfant lors des crises, jour et nuit, pouvant provoquer un épuisement parental, l'arrêt du travail de l'un d'eux (très majoritairement la mère).

Ils ne peuvent pas prendre la distance nécessaire avec leur enfant préadolescent, on les qualifiera de « parents surprotecteurs » alors qu'ils n'ont guère d'autres moyens d'assurer la sécurité de l'enfant au moment des crises. Ils peuvent vivre une sorte de « stigmatisation » si l'entourage ne comprend pas, s'ils ont du mal à partager le vécu de la crise, s'ils ont du mal à faire confiance à d'autres pour prendre soin de l'enfant.

L'échec ou la réussite trop partielle des thérapies médicamenteuses depuis les 1ères crises de l'enfant est très durement vécu par les parents qui s'inquiètent énormément pour l'avenir de leur enfant et peuvent être désespérément à la recherche du « produit miracle ».

L'épilepsie pharmacorésistante de l'enfant plonge les parents dans l'anxiété, l'isolement social. Nombre de ces parents vivent une dépression, un éclatement du couple.

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 ?

De nombreux médicaments antiépileptiques existent, y compris en dosage et galénique adaptés en pédiatrie. Néanmoins 20 à 30 % des enfants restent pharmacorésistants, qu'ils aient des crises à début focal ou d'emblée généralisées, y compris avec des plurithérapies. Selon le syndrome épileptique rare, la lésion à l'origine de la crise focale, les troubles associés à l'épilepsie, le

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

neurologue spécialiste essaiera telle ou telle combinaison de médicaments. Aucun nouveau médicament n'est actuellement 100% efficace pour 100% des enfants concernés par la pharmacorésistance, même ceux qui ont suscité énormément d'attente parmi les familles.

Pour les crises focales pharmacorésistantes, la chirurgie peut être une excellente indication et permettre à l'enfant d'être libre de crises. Mais c'est un acte lourd, invasif, les étapes sont longues et les familles peuvent être très réticentes à une opération du cerveau de leur enfant.

Le Stimulateur du Nerf Vague peut être proposé en complément d'une plurithérapie médicamenteuse, avec souvent une bonne amélioration sur les crises focales secondairement généralisées. C'est une chirurgie beaucoup moins invasive que l'ablation ou l'isolement de la zone épileptogène du cerveau. La version enfant du SNV ne bénéficie pas encore de la détection automatique de l'accélération cardiaque, pour des raisons de taille de la pile dans le boîtier taille enfant.

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

Nous ne nous attendons donc pas à ce que le Fycompa soit « magique » pour cette tranche d'âge. On peut espérer qu'il soit aussi efficace que pour les enfants plus âgés auxquels il est actuellement prescrit et permette donc à un certain nombre d'enfants d'accéder à des périodes libres de crises plus longues ou à des crises de moindre intensité, sans pour autant amener d'effet secondaire néfaste.

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 ?

Certaines familles rapportent une belle amélioration de l'état de l'enfant avec le Fycompa, (ex un enfant de 8 ans sans crise depuis un an et demi suite à l'introduction du Fycompa après une nième hospitalisation en réa pour état de mal)

D'autres ont une relative amélioration mais des vertiges obligeant à ne prendre le Fycompa que le soir au coucher.

D'autres parlent d'un échec de plus pour le traitement de l'épilepsie de leur enfant ou d'effets secondaires trop importants (vertiges intenses, chutes, irritabilité, agressivité) pour continuer le ttt par fycompa....

La présentation en comprimés pelliculés peut poser un problème pour les enfants n'ayant pas développé une déglutition normale. Si le broyage / dilution dans un liquide altère les propriétés, il faudra clairement le spécifier et ne pas prescrire Fycompa aux enfants ne pouvant pas avaler facilement ces comprimés. Ce n'est pas un effort demandé occasionnellement à l'enfant mais une prise journalière voire bi-journalière pendant des mois ou des années.

Il serait bon de supprimer le dioxyde de titane du pelliculage des médicaments, comme ça a été fait pour les bonbons. Les enfants concernés mangent souvent plus de médicaments que de bonbons... !

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 ?

Nous avons des commentaires individuels de familles cf§3-2 mais en nombre insuffisant pour en tirer une généralisation

L'usage déjà ancien du Fycompa donne de bons éléments dans la littérature sur les bénéfices potentiels et les risques possibles. Les neuros spécialistes ont aussi une bonne expérience des associations de médicaments antiépileptiques avec Fycompa favorables ou à éviter. La limite est le manque de recul d'usage dans cette période enfance-prépuberté

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

5. Information supplémentaire

6. Synthèse de votre contribution

Les épilepsies pharmacorésistantes de l'enfant et du préadolescent peuvent avoir des conséquences graves sur son neurodéveloppement, sa scolarité, sa socialisation et son autonomisation. Elles ont aussi un impact important sur la famille de ces enfants. Il convient donc de contrôler les crises autant que possible, sans pour autant imposer à l'enfant des effets secondaires qui pourraient être plus néfastes que la répétition des crises.

La moitié des épilepsies débutent avant l'âge de 10 ans. Plus l'épilepsie débute tôt et plus elle est résistante aux traitements, plus les risques sur le développement de l'enfant sont importants.

20 à 30 % des enfants épileptiques ne sont pas libres de crises malgré le traitement le mieux adapté possible à leur épilepsie.

Une extension du Fycompa, qui a démontré des bénéfices pour les jeunes de plus de 12 ans, peut permettre d'améliorer l'épilepsie chez un certain nombre d'enfants. Il faudra toutefois veiller aux effets secondaires possibles, très variables selon l'enfant et la plurithérapie administrée.

Pour des enfants ayant des difficultés à déglutir un comprimé pelliculé la galénique du Fycompa peut poser problème, et la prescription ne devra pas être faite pour ces enfants s'il est impossible de broyer /diluer le comprimé sans altérer les propriétés médicamenteuses.

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.