

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 : <FUCIDINE (acide fusidique/ fusidate de sodium)

>

Indication(s) du médicament concernées : < Réévaluation des spécialités génériques d'acide fusidique dans le traitement des impétigos et dermatoses impétiginisées

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 : DEBRA France- Mireille Nistasos – 16 La Canebière – 13001 MARSEILLE

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, témoignages, ligne téléphonique, nombre de participants, ... avec les périodes concernées).

Sondage sur réseaux sociaux du 8 juin au 11 juin 2021. 20 participants

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?
Personnes concernées par l'épidermolyse bulleuse, maladie génétique rare qui touche la peau et les muqueuses selon le type de forme.

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

Non

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

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 ?

S'il existe différentes formes de la maladie, les bulles, érosions et plaies chroniques en constituent les principales manifestations.

Il n'existe actuellement aucun remède pour aucune forme d'EB, et le traitement se concentre encore largement sur le soin des plaies par un bandage protecteur pour réduire la douleur et les dommages supplémentaires, et sur la gestion des complications dues aux risques d'infection, de fibrose, d'inflammation et de mauvais état nutritionnel.

Les soins cutanés, qui peuvent durer près de 4h par jour dans les formes les plus sévères, constituent la pierre angulaire de la prise en charge à domicile. Ils consistent à percer les bulles avec une aiguille ou un ciseau et à appliquer des pansements très spécifiques utilisés chez les grands brûlés. A la différence des grands brûlés, les plaies vont avoir du mal à cicatriser et vont récidiver sans cesse.

Le risque de surinfection des plaies est élevé et des cures d'antibiotiques par voie orale sont parfois nécessaires. L'acide fusidique permet d'éviter cette surinfection.

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

Si ces soins permettent d'améliorer la qualité de vie de la personne malade en la soulageant, ils restent très contraignants et impactent fortement le vécu quotidien du malade et de ses aidants. Réalisés le plus souvent par les parents, bien qu'ils n'y soient pas toujours très préparés, ces soins longs et douloureux sont source d'angoisse pour les parents.

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 ?

L'épuisement des aidants est un facteur de risque non négligeable et le rôle des infirmières libérales dans la prise en charge devrait être mieux défini et pris en considération pour améliorer la qualité de vie du foyer. Il semble en effet essentiel que les parents ne soient pas les soignants exclusifs de l'enfant.

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

Un des deux parents est souvent contraint de réduire voire cesser son activité professionnelle pour gérer ces soins.

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

Amélioration de la qualité de vie (douleur, prurit). Réduire la fréquence des bains et des soins.

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 ?

Sur les 20 personnes ayant répondu au questionnaire, 16 indiquent l'utiliser régulièrement et obtenir de bons résultats sur des plaies infectées (rouges, douloureuses, pus).

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 ?

5. Information supplémentaire

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

Vous pouvez me contacter si besoin

Angélique Sauvestre – 07 87 14 08 47

Angelique.sauvestre@debra.fr

Créée en 1985, Debra France est une association de malades et parents de malades atteints d'épidermolyse bulleuse, une maladie génétique rare entraînant une fragilité de la peau et des muqueuses. L'association a vocation à accompagner les malades et leur entourage au quotidien, faire connaître et communiquer sur la maladie, ainsi que soutenir la recherche pour développer des traitements adaptés.

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

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.

L'épidermolyse bulleuse est une maladie complexe nécessitant un suivi pluridisciplinaire dans les centres de référence.

L'acide fusidique répond aux besoins et attentes des patients parce qu'il permet de traiter les plaies infectées.

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.

Volet administratif

1. Informations générales sur l'association

Nom de l'association : DEBRA FRANCE

Adresse postale: Mireille Nistasos -16 La Canebière- 13001 marseille

Objet social : WWW.DEBRA.FR

Principales activités : Créée en 1985, Debra France est une association de malades et parents de malades atteints d'épidermolyse bulleuse, une maladie génétique rare entraînant une fragilité de la peau et des muqueuses. L'association a vocation à accompagner les malades et leur entourage au quotidien, faire connaître et communiquer sur la maladie, ainsi que soutenir la recherche pour développer des traitements adaptés.

Décrivez vos adhérents: nombre, autres éléments de description ...

En France, l'association Debra regroupe près de 350 familles adhérentes. Son réseau de bénévoles et sa présence sur les réseaux sociaux assurent le maintien du lien avec les familles et renforce la communauté d'entraide créée entre malades. La diversité des expertises réunies au sein de son conseil d'administration et de son conseil scientifique permet d'apporter une information de qualité aux malades et de les éclairer dans leur parcours de soins et de vie. L'association organise régulièrement des événements pour les familles comme pour les professionnels du parcours de santé et s'inscrit dans des actions de sensibilisation auprès du grand public.

Ancrée dans le domaine des maladies rares, Debra France représente et porte la voix des malades dans la filière Santé Maladies Rares Dermatologiques (FIMARAD) et auprès des acteurs de la plateforme maladies rares (Eurordis, Alliance Maladies Rares, etc.).

Elle fait aussi partie des pays fondateurs du réseau associatif Debra International, qui regroupe aujourd'hui une cinquantaine de pays. Elle a tenu en 2014 le congrès international à Paris.

Chaque année elle organise une journée des professionnels de l'épidermolyse bulleuse.

Type d'association :

Association loi 1901 à but non lucratif.

Voir rescrit fiscal ci-joint.

Pour les associations non agréées, décrivez la composition des instances (conseil d'administration et bureau) : noms des personnes, titres.

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

Personne contact pour les contributions : Angélique SAUVESTRE

Fonction: Directrice

Email: angelique.sauvestre@debra.fr

Téléphone :07 87 14 08 47

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

2. Informations sur le financement et les autres liens d'intérêt

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (entreprises, institutions, fondations, ...) à l'origine d'un financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), pour l'année en cours et l'année passée.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

Année	Organisation	Montant	Pourcentage du budget pour l'année concernée

Budget total de l'association pour l'année passée :

Budget total de l'association pour l'année en cours:

Pensez-vous nécessaire de porter à la connaissance de la HAS d'autres liens qui pourraient constituer un conflit d'intérêt ?

Date :