

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 : Nucala

Indication(s) du médicament concernées : Traitement additionnel aux corticostéroïdes par voie nasale chez les adultes présentant une polypose naso-sinusienne sévère, insuffisamment contrôlés par des corticostéroïdes systémiques (CSS) et la chirurgie.

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 Asthme & Allergies
8, rue Tronson du Coudray
75008 Paris

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).

Témoignages, au fil du temps, de patients reçus au numéro vert Asthme & Allergies Infos Service, témoignages reçus lors de séances d'éducation thérapeutique, témoignages de patients de notre antenne locale de Tours, témoignages de médecins prescripteurs.

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?
Christine Rolland, directrice de l'association – Marie-Pierre Rinn, présidente de l'antenne locale (association de patients) de Tours- et Pr Gilles Garcia, pneumologue, président de l'association

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

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 polypose naso-sinusienne (PNS) touche plus de 2% de la population adulte française (soit environ 1 million de personnes). C'est une maladie chronique très invalidante qui provoque une obstruction nasale, des maux de tête, le nez qui coule et la perte totale ou partielle de l'odorat entraînant une perte du goût. Ces symptômes altèrent considérablement la qualité de vie notamment pour les personnes atteintes des formes les plus sévères de la maladie. Pour les formes légères, le traitement local suffit généralement à soulager les symptômes (lavage de nez, corticoïdes en spray intra-nasal). Il est fréquent également de prescrire des corticoïdes par voie générale pour les formes plus sévères. Si ces traitements ne suffisent pas, la chirurgie est proposée, mais malheureusement, la chirurgie ne guérit pas la maladie et on constate une récidive des polypes dans environ 40% des cas. De plus, malgré la chirurgie, il faut continuer les traitements et le suivi.

Par ailleurs, l'association entre polypose nasale et asthme (notamment sévère) est fréquente puisque 40% des personnes souffrant de polypose nasale ont également de l'asthme.

L'impact de la polypose nasale au quotidien se traduit par des douleurs au niveau du front ou de la face qui peuvent être assez violentes et difficiles à supporter. Avoir un nez bouché en permanence impacte le sommeil ce qui provoque fatigue et irritabilité. La perte d'odorat souvent associée à la perte du goût provoque un isolement sensoriel, un repli sur soi et génère une forme d'exclusion sociale (renoncement à des moments de convivialité lors de repas entre amis, au restaurant, en famille) car il est impossible d'y partager les sensations. Les odeurs sont des informations qui sont essentielles à la vie.

Les patients et tout particulièrement les patients asthmatiques qui s'adressent à nous parlent plus volontiers de sinusite car la plupart du temps, ils n'ont pas eu de bilan ORL permettant de détecter une éventuelle PNS. Les plaintes reçues sont :

« je dors mal et je me réveille la nuit avec le nez bouché »
« je suis fatigué »
« j'ai besoin de me moucher tous les matins au réveil et rien ne sort »
« j'ai mal au front, au dessus des sourcils »
« j'ai mal entre le nez et les pommettes »
« j'ai besoin d'ajouter du sel, du poivre, des épices car rien n'a de goût »
« j'ai complètement perdu le plaisir de faire la cuisine »

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

La personne qui dort mal, qui se réveille la nuit pour se moucher ou qui ronfle à cause de son nez bouché perturbe le sommeil du conjoint.

La fatigue est mal perçue par l'entourage : « quand je dis que je suis fatiguée, on me traite de rabat-joie et on me dit d'arrêter de me plaindre »

La vie sociale est impactée : « Je ne vais plus au restaurant, ça ne sert à rien, je n'ai aucun plaisir car tout à le même goût » « mes amis ne comprennent pas pourquoi je ne veux plus sortir »

3. Expérience avec les thérapeutiques actuelles autres que celles évaluées

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

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

On ne connaît pas véritablement la cause exacte de la maladie et il n'existe pas à ce jour de traitement curatif. Les traitements visent à diminuer la taille des polypes pour soulager les symptômes (obstruction et écoulement nasal, amélioration de l'odorat) et dépendent du stade de sévérité de la polyposis nasale. Pour les formes légères à modérées, le traitement quotidien consiste à effectuer des lavages du nez et à utiliser des corticoïdes locaux (voie nasale).

Le lavage de nez est considéré comme peu agréable par les patients, mais provoque un soulagement immédiat. Les corticoïdes par voie nasale sont globalement bien supportés.

Il n'y a pas de passage systémique de la cortisone lorsqu'elle utilisée localement en intranasal. Chez 10 à 15% des patients les corticoïdes intranasaux entraînent des saignements de nez et des douleurs qui peuvent transitoires mais qui peuvent parfois imposer l'arrêt du traitement.

Si cette première approche est insuffisante, on ajoute des corticoïdes par voie générale en cures courtes mais ceux-ci provoquent des effets secondaires importants lorsque les cures sont répétées. La chirurgie est proposée aux cas réfractaires mais nécessite ensuite de continuer les traitements par corticoïdes locaux. La chirurgie toutefois ne garantit pas la guérison et les récidives sont nombreuses (environ 40% des cas). L'arrivée des biothérapies est donc un bénéfice important pour les patients les plus sévères dont la PNS récidive malgré un traitement médical et chirurgical bien conduit.

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

Le médicament évalué, Nucala, est indiqué en traitement additionnel aux corticostéroïdes par voie nasale chez les patients adultes, présentant une polyposis naso-sinusienne sévère, insuffisamment contrôlés par des corticostéroïdes systémiques et ayant bénéficié d'au moins une chirurgie antérieure. Les patients voient un avantage important à la fréquence d'utilisation du médicament puisqu'il est recommandé une injection toutes les 4 semaines.

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

Ils sont en attente d'un traitement efficace après un parcours thérapeutique complexe et ne couvrant pas leurs besoins. L'espoir de voir disparaître les symptômes de façon durable et de ne plus avoir recours plusieurs fois à la chirurgie est très important.

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 ?

Le Nucala est un médicament avec un meilleur profil de tolérance que la cortisone. Ce qui permet de rassurer des patients.

Jusqu'à présent le Nucala est indiqué dans la prise en charge de l'asthme sévère réfractaire eosinophilique. Nous avons de nombreux exemples de patients qui ont récemment bénéficié de ce

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

traitement dans le cadre de leur asthme sévère mais qui ont vu leurs symptômes de polyposé s'améliorer significativement.

Mme Elodie P. âgée de 35 ans, traitée pour un asthme sévère avec une exacerbation récente qui a justifié une hospitalisation de plusieurs en unité de soins critiques. Elle présentait également des symptômes de polyposé nasosinusienne sévère qui ont nécessité une prise en charge chirurgicale. Le Nucala récemment introduit a permis d'améliorer le contrôle des symptômes d'asthme mais également une nette amélioration des symptômes ORL d'obstruction nasale et des troubles de l'odorat. Elle a « *l'impression de revivre* ». Elle se rend compte à postériori « *du poids permanent de sa maladie sur son quotidien* ». Son verbatim est assez impressionnant lorsqu'elle évoque « *son isolement social à cause de ses symptômes* », l'impact sur ses loisirs « *J'ai dû arrêter le sport pourtant je joue au basket depuis toute petite* » et « *la fatigue permanente* » que ça entraîne.

Mme Fatima F. âgée de 40 ans a été opérée 3 fois d'une polyposé nasonusienne sévère. L'introduction du Nucala pour mieux contrôler les symptômes d'asthme sévère a permis d'améliorer nettement les symptômes ORL d'obstruction nasale et d'anomie. Elle avait l'habitude de ne « *jamais trop se plaindre* » et de ne plus faire attention à son nez « *toujours bouché* ». « *Je faisais la cuisine pour mes enfants mais je n'avais pas trop le goût de ce que je faisais* ». Elle s'aperçoit elle aussi à postériori du poids de cette maladie ORL sur son quotidien. C'est « *une libération de pouvoir à nouveau respirer par le nez* ».

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 un grand nombre de retour de patients directement auprès de l'association mais aussi des retours des médecins prescripteurs qui soulignent l'efficacité majeure du produit chez les patients répondreurs. En effet certains patients vont répondre de manière exceptionnelle au produit avec une améliorations des symptômes, de la qualité de vie et une quasi-disparition du recours à la cortisone orale. Malheureusement certains patients vont rester définitivement non répondreurs à ce traitement sans qu'il n'existe pour l'instant de critères prédictifs permettant de prédire la réponse au Nucala.

Il est donc très important de déterminer en amont les objectifs du traitement donné à visée respiratoire, ORL ou les deux. La littérature montre que le produit est efficace chez environ 80% des patients.

En revanche le médicament est bien toléré et n'entraîne pas d'effets secondaires graves. L'effet secondaire le plus fréquent reste les réactions au point d'injection qui sont le plus souvent contrôlés par du froid et des antihistaminiques.

5. Information supplémentaire

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

6. Synthèse de votre contribution

Nous parlons ici des formes sévères de polyposie nasosinusienne. Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont les symptômes quotidiens d'obstruction nasale, de jetage postérieur et de troubles de l'odorat entraînant une altération de la qualité de vie et justifiant le recours fréquent à la cortisone orale et nécessitant un traitement chirurgical.

Les thérapeutiques actuelles sont parfois insuffisamment efficaces parce qu'elles ne permettent pas de contrôler suffisamment les symptômes chez les patients les plus sévères.

Le médicament répond aux besoins et attentes des patients parce qu'il permet d'améliorer nettement les symptômes ORL et de diminuer significativement le recours à la cortisone orale et à la chirurgie qui peut parfois entraîner des complications graves (brèche méningée).

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.

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

Volet administratif

1. Informations générales sur l'association

Nom de l'association : Asthme & Allergies

Adresse postale: 8, rue Tronson du Coudray- 75008 Paris

Objet social :

Son but est de promouvoir la recherche, la formation, l'information et l'éducation thérapeutique en matière d'asthme et d'allergies.

Elle a dans ses objectifs l'amélioration permanente de la qualité et de l'efficacité du diagnostic et du traitement des malades asthmatiques et allergiques.

Elle s'adresse à toutes les personnes physiques et morales concernées par l'asthme et les allergies, en regroupant au mieux les compétences indispensables.

Missions :

- Informer pour favoriser le dépistage et la prise en charge de l'asthme et des allergies
- Orienter les patients et leur entourage dans le parcours de soins
- Promouvoir et faciliter l'éducation des patients pour les aider à maîtriser leur maladie et mieux vivre avec

Principales activités :

Gestion du Numéro Vert Asthme & Allergies Infos Service et de différents sites internet via le portail www.asthme-allergies.org, organisation de webinaires et de tchats, animation d'une page Facebook et d'un fil Twitter, organisation de la Journée Française de l'Allergie, de la Journée Mondiale de l'Asthme, organisation et animation de groupes de paroles de patients asthmatiques sévères, réalisation d'enquêtes sur le vécu des patients, éditions d'outils tels que brochures, posters, vidéos et newsletter, orientation des patients, participation à différents groupes de travail de l'Assurance Maladie...

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

Entre 1 500 et 2 000 adhérents (selon les années), patients et professionnels de santé.

Type d'association :

Association de patients non-agrée- Association Loi de 1901

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

- Monsieur Gilles GARCIA, Docteur en Médecine, Président
- Monsieur Marc SAPENE, Docteur en Médecine, Vice-président
- Monsieur Dorian CHERIOUX, Patient asthmatique sévère et allergique, Vice-président représentant les patients
- Madame Marie Pierre RINN, Patiente asthmatique et allergique, Trésorière
- Madame Fabienne BLANCHET, Docteur en Pharmacie, Secrétaire Générale

Personne contact pour les contributions : Madame Christine Rolland

Fonction: Directrice

Email: ch.rolland@asthme-allergies.asso.fr

Téléphone : 06 11 02 43 17

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	% du budget de l'année
2020	Santé publique France	55000	15
	Mairie de Marseille	8000	2
	ARS PACA	6700	1,8
	Alliance Apnées	30000	8
	AstraZeneca	25000	7
	Sanofi	20400	5
	GSK	95000	25
	Chiesi	30000	8
	ALK	20000	5
	Stallergenes	32000	8
	Boehringer Ingelheim	10000	2,7
	Thermofisher	4000	1
	Protecsom	2500	0,7
	Hyla	6000	1,6
2021	Santé Publique France	55000	18
	Mairie de Marseille	8000	2,6
	Alliance Apnées	10000	3
	APP	30000	10
	AstraZeneca	20000	6
	GSK	50000	16
	Chiesi	30000	10
	ALK	20000	6
	Stallergenes	32000	10
	Thermofisher	4000	1
	Protecsom	5000	1
	Hyla	6000	2
	Jazz	1600	0,5
	Rubson	10000	3
	ISIS	7500	2
	SOS Oxygene	7500	2
	Biogaran	5000	1,6
	Resmed	5000	1,6
	Novartis	2800	0,9

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

Budget total de l'association pour l'année passée : 310 000 €

Budget total de l'association pour l'année en cours: 300 000 €

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

Date : 11/01/2022