

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 : XELJANZ Indication(s) du médicament concernées : ARTHRITE JUVENILE IDIOPATHIQUE

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 : AJIados

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Témoignages

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?

Patient et Parent

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

Soutien financier pour un projet de livre pour les patients atteints d'un autre rhumatisme (OCRM)

2. Impact de la maladie / état de santé

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

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 ?

- *Limitation des mobilités des articulations*
- *Douleurs articulaires*
- *Fatigue*
- *Gonflements articulaires*

- *Dérouillage matinal*
- *Impact sur les capacités scolaires puis les études, les activités sportives*
- *Impact sur la santé mentale*

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

- *- *Inquiétude des proches*
- *Disponibilité et aide apportée au patient par les proches*

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 ?

- *Anti-TNF : efficace mais contraignant à cause des injections qui sont douloureuses et des réactions cutanées au point d'injection*
 - *Méthotrexate : efficace mais contraignant à cause de la surveillance biologique tous les 3 mois et des effets digestifs qui concernent pas loin de 50% des patients*
 - *Sophrologie, auto-hypnose*
 - *Sports*
- Cet ensemble de mesures est très efficace sur la maladie au prix de contraintes que sont les injections sous-cutanées, la tolérance souvent médiocre du Méthotrexate et sa surveillance biologique, la baisse de l'immunité de la combinaison antiTNF+MTX (en monothérapie : pas d'effet sur l'immunité), les contraintes d'organisation pour les injections –produit à conserver au frais, prévoir du temps et un lieu pour l'administration)*
- *Au long terme, risques de cancers*

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 ?

Même efficacité que les antiTNF+/- MTX mais sans les contraintes

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?

De facilité d'usage ou d'observance : oui certainement

D'efficacité : des espoirs déçus en terme d'efficacité par rapport à la combinaison antiTNF+MTX

Qualité de vie : améliorée, sans hésitation

D'impact sur la vie professionnelle et sociale : arrêt des injections d'AntiTNF donc plus pratique

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 ?

NA

5. Information supplémentaire

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

Prise de XELJANZ en remplacement de l'antiTNF pour éviter les contraintes listées plus haut ; expérience non concluante car poussée de la maladie sous XELJANZ.

Reprise de l'antiTNF.

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.

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont les signes liés à l'activité de la maladie et en tout premier, les douleurs articulaires...

Les thérapeutiques actuelles sont adéquates parce qu'elles ont un excellent niveau de contrôle sur la maladie au prix de douleurs liées aux injections sous-cutanées et de problème de tolérance du méthotrexate en co-administration

Le médicament Xeljanz répond aux besoins et attentes des patients parce que la voie orale est indéniablement plus confortable, surtout chez les enfants ; le témoignage délivré est celui d'une patiente pour laquelle Xeljanz n'a pas eu le niveau de contrôle sur la maladie attendu ; l'expérience d'autres patients sera peut-être plus positive. Nous attendons les résultats de l'essai contrôle versus placebo avec impatience.

(...)

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 : **AJlados**

Adresse postale: **Séverine GUILLAUME - Service de Médecine des Adolescents
78, rue du Général Leclerc - 94270 le Kremlin-Bicêtre**

Objet social : contribuer à l'amélioration des conditions de vie des **adolescents et jeunes adultes atteints d'Arthrite Juvénile Idiopathique** et autres maladies chroniques inflammatoires rares

Principales activités : Information-Animation de séance d'ETP dans le cadre du Programme d'ETP MAJIE (3è validation cette année)-Site web dédié-Newsletter-1 à 2 Projets annuels (cette année : rédaction avec des médecins de diverses spécialités d'un livre pour les patients atteints d'OCRM/SAPHO sous l'égide de la filière FAI2R

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

Maladies rares

Essentiellement enfants atteints d'Arthrite Juvénile Idiopathique, mais aussi d'uvéites graves pédiatriques et d'OCRM

Une cinquantaine de patients adhérents/an avec leurs familles (parents, fratrie, proches..)

Type d'association :

Association de patients non-agrèée, déclarée au Journal Officiel en avril 2015

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

	Fonctions	Conseil d'administration	Bureau
Séverine Guillaume	Présidente	X	X
Laurence Toumoulin	Vice-Présidente	X	X
Stephanie Archimbaud	Secrétaire	X	X
Anne Paitier	Secrétaire adjointe	X	X
Johnny Frossard	Trésorier	X	X
Didier Toumoulin	Web Master	X	
Clémence Paitier	Patiente Experte	X	

Personne contact pour les contributions : Séverine GUILLAUME

Fonction: Présidente d'AJlados et Rhumatologue Pédiatrique CHU Bicêtre, Sce des Adolescents

Email: severine.guillaume@aphp.fr

Téléphone : 0145212207 (secrétariat)

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
2021	Pfizer	5500 eur	18%
	Chugai	2000 eur	6%
2020	Abbvie-AAP santé et perspectives	7500 eur	24%

Budget total de l'association pour l'année passée : 30827 eur

Budget total de l'association pour l'année en cours: 38327 eur

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

Non

Date : 30/11/2021

