

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

Commission Nationale d'Evaluation des Dispositifs Médicaux et des Technologies de Santé - Commission de l'évaluation économique et de santé publique

Evaluation de : AUBAGIO (tériflunomide)

**Indication(s) du dispositif médical concernées :
Nouvelle indication pédiatrique dans le traitement des formes récurrentes rémittentes de sclérose en plaques (SEP-RR).**

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 Notre Sclérose
55 route de Vannes
44100 Nantes

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Les éléments présentés dans ce document ont été rédigés avec l'aide de l'équipe opérationnelle de l'association à partir des échanges de patients atteints de la sclérose en plaques, notamment traités sous Aubagio, et de leurs proches.

L'Association a isolé les informations reçues à partir des :

- **700 témoignages de patients** atteints de sclérose en plaques diffusés sur le site de l'association (notresclerose.org) et recueillis,
- **Commentaires et échanges entre patients du site internet** de l'association qui compte 45 000 visiteurs uniques tous les mois,
- **Réunions physiques avec des patients et de proches,**
- **Echanges sur les réseaux sociaux** (10 000 abonnés sur les réseaux de l'Association),
- **Echanges téléphoniques quotidiens** via la ligne d'écoute mise en place par l'Association,
- **E-mails** quotidiens échangés avec les patients et leurs proches en manque d'informations et/ou de retours d'expériences.

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

- **Les patients et proches** ayant témoigné et échangé sur les médias de l'association.

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

- **Le Directeur** de l'association atteint de sclérose en plaques depuis 1998 et porte-parole de l'association.
- **La présidente de l'Association** dont le conjoint est atteint de sclérose en plaques,

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

L'association a interrogé le laboratoire Sanofi pour prendre connaissance de l'étude réalisée.

2. Impact de la maladie / état de santé

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

La sclérose en plaques (SEP) est une maladie inflammatoire du cerveau et de la moelle épinière. Elle touche 110 000 personnes en France et entre 4000 et 6000 nouveaux cas par an. On considère qu'elle est la première cause de handicap non traumatique chez les jeunes adultes. Le diagnostic se fait principalement entre 20 et 40 ans.

Les troubles les plus fréquents évoqués par les patients atteints de la sclérose en plaques sont :

- **Les troubles sensitifs**, comme les douleurs liées aux sensations de fourmillement et brûlures. Ces troubles sont invisibles, mais sont particulièrement invalidants et constituent le premier symptôme décrit par les patients.
- **La fatigue**, fréquente dans la sclérose en plaques (80% des patients en souffrent), entraîne un isolement social et professionnel.
- **Les troubles moteurs**, comme les problèmes de marche ou déficits moteurs, peuvent constituer un handicap majeur freinant la possibilité de réaliser certaines activités de la vie quotidienne.
- **Les troubles visuels** (névrite ou diplopie) sont également fréquents et sont particulièrement craints par les patients. Ces troubles peuvent être momentanés ou définitifs.
- **Les troubles de l'équilibre ou vertiges**, sont également particulièrement invalidants et peuvent gêner à la marche ou à la réalisation d'activités simples. Là encore le patient risque de subir isolement social.
- **Les troubles sphinctériens et sexuels** touchent à l'intimité des patients.

Ces troubles sont d'autant plus difficiles à gérer que le patient est jeune, la sclérose en plaques affectant, à terme, la construction de l'individu, sa confiance en lui, son rapport aux autres et de manière plus générale sa projection dans l'avenir.

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

La maladie affecte bien entendu l'entourage proche du malade et notamment les membres de sa famille qui se trouvent directement confrontés à la douleur, aux symptômes, au handicap et aux difficultés à faire face à la maladie.

Plus le patient est jeune et plus ils sont amenés à l'accompagner dans la bonne compréhension de sa pathologie, de son parcours de soins et plus globalement dans sa construction psychologique et sociale.

La sclérose en plaques étant une maladie dégénérative, il est par ailleurs habituel de voir le rôle des proches devenir celui des aidants. Les proches sont alors souvent impliqués dans la prise des traitements, notamment ceux par injections.

Cette logistique positionne alors le patient comme un malade au sein de sa famille et son entourage, vs un membre à part entière.

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

Plus spécifiquement, la bonne prise du traitement, notamment au moment de l'adolescence, constitue l'un des facteurs supplémentaires de stress et de tension pour le patient et son entourage. En effet, outre les symptômes de la maladie difficiles à gérer, la prise d'un traitement, notamment par injection, est considérée comme contraignante et douloureuse et souvent mal vécue au quotidien.

La sclérose en plaques engendre tout un tas de questionnements et d'angoisses qui viennent troubler l'équilibre de vie du malade et sa relation aux autres.

À terme les malades peuvent avoir tendance à s'isoler, notamment à cause des symptômes, des handicaps et de la fatigue. D'où l'intérêt de mettre rapidement un traitement adapté en place, pour qu'il puisse freiner l'évolution de la maladie.

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 ?

Pour la SEP, les thérapeutiques les plus adaptées sont les suivantes :

>Suivi psychologique pour le patient et la famille : accompagner le malade et aider l'entourage du patients pour permettre une bonne compréhension de la pathologie et de ses symptômes notamment,

>Hospitalisation à domicile en cas de poussées : permet ainsi de rester dans son environnement,

>Rééducation : possibilité de faire appel à la médecine physique et de réadaptation (MPR) en cas de besoins,

>Traitements limitant la fréquences et l'intensité des poussées. A noter qu'à ce jour, il n'existe pas de traitements pour guérir de la sclérose en plaques. Seuls les traitements limitant la fréquences et l'intensité des poussées sont proposés. Ainsi, on peut dire que les traitements *per os* sont les « plus adaptés » car ils participent à maintenir un certain confort de vie, notamment pour les plus jeunes.

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

Les patients attendent un traitement adapté et peu contraignant :

- Qui limite les poussées en freinant le handicap dès que possible, notamment parce que la sclérose en plaques est une maladie neurodégénérative.
- Qui présente peu de contraintes, avec si possible un mode d'administration par voie orale, moins invasive,
- Qui puisse être pris dans la durée, notamment si le traitement est bien toléré par le patient.
- Avec peu d'effets secondaires, voire aucun, et le moins possible de contraintes associées (suivi),
- Un traitement facile à stocker, qui facilite les séjours hors de la maison par exemple.

4. Expériences avec le dispositif médical évalué

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

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

D'après notre connaissance du médicament Aubagio sur les patients adultes principalement, la prise d'un médicament par voie orale facilite la bonne prise du traitement (prise simplifiée et moins invasive), entraînant un impact positif sur la qualité de vie des patients et de leur entourage.

Certains effets secondaires sont cependant évoqués par les patients :

- Le changement de texture de cheveux, même s'il semble que cela soit temporaire et réversible, elle peut poser soucis à l'adolescence notamment.
- La prise d'un contraceptif impératif en cas d'activité sexuelle, et la planification d'un projet de grossesse à mettre en place.

4.2 Si vous n'avez pas d'expérience de ce dispositif médical, 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

Les traitements oraux de première ligne existent déjà pour les adultes, il est essentiel de pouvoir en proposer en première intention aux enfants, pour leur permettre de dépasser la maladie et de se projeter, le plus sereinement possible, dans l'avenir.

6. Synthèse de votre contribution

Les patients souhaitent des traitements efficaces, peu contraignants ou invasifs, pour pouvoir vivre leur vie le plus normalement possible. C'est particulièrement le cas pour les jeunes patients et leur famille qui ont besoin de se projeter sereinement dans l'avenir et d'être le plus autonomes possible dans leur parcours de soins.

Le médicament évoqué dans ce dossier peut permettre de répondre aux attentes des patients atteints de la sclérose en plaques, en allégeant le quotidien du patient et de son entourage, même s'il nécessite un suivi régulier et implique des effets secondaires à évoquer en amont.

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 : Association Notre Sclérose

Adresse postale: 55 route de Vannes - 44100 Nantes

Objet social : Association loi 1901 – Reconnue d'intérêt public.

Principales activités : Accompagner et informer les patients atteints de la sclérose en plaques et leurs proches. Lutter contre les idées reçues sur la maladie en faisant témoigner les patients, leurs proches et les professionnels de santé.

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

-1620 patients patients-bénévoles inscrits sur notre communauté d'entraide entre patients.
-50 adhérents,
-45 000 visiteurs uniques soutiennent notre démarche en venant sur notre site internet tous les mois.

Type d'association :
Association loi 1901 – Reconnue d'intérêt général.

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

Présidente : Sandy Thomaré.

Secrétaire Général : Céline Capion.

Trésorier : Yann Gilbert.

Personne contact pour les contributions : Arnaud Gautelier

Fonction : Directeur

Email : notresclerose@notresclerose.org

Téléphone : 0668361976

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
2020	ARS	5000	10.5
	Novartis	20000	42.2
	Merck	10000	21.12
	Dons particuliers	3041	6.4
	Consulting Novartis, Merck, Biogen	9300	19.6
2021 (subventions accordées ou en cours d'acquisition à date. Budget en cours de construction) :			
	ARS	10000	10.1
	Novartis	36750	37.3
	BMS	16000	16.2
	Merck	7500	7.6
	Roche	10000	10.1
	Sanofi	10000	10.1
	Colloplast	1300	1.3
	Convatec	3000	3.04
	Dons	1000	1.01
	Moi patients	2812	2.8

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

Produit d'exploitation 2020 : **38201€**

Budget total de l'association pour l'année en cours : **Prévisionnel 2021 aux alentours de 140000€**

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

Date : [Le 22 septembre 2021](#)