

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 (mépilizumab)

Indication(s) du médicament concernées : Nouvelle indication dans le traitement additionnel de la granulomatose éosinophilique avec polyangéite récidivante ou réfractaire

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 : France Vascularites, 7 rue de l'église 21540 BLAISY-BAS

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).

Réseaux sociaux, veille téléphonique et veille mail.
Recueil de témoignages fin décembre 2021

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

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures et quelle est leur nature ?
Groupe Français d'Etude des Vascularites pour la présentation des études
Laboratoire GSK, pour présentation du produit

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 ?

- Difficultés respiratoires dues à l'asthme.
- Stress important lié à l'oppression en relation avec l'asthme
- Impact professionnel avec une grande fatigabilité et parfois impact social
- Perte d'autonomie dans les tâches courantes de la vie

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

- Angoisses, stress, ne pas savoir quoi faire
- L'impact des effets secondaires des corticoïdes (irritabilité, troubles du comportement...)

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 ?

Les corticoïdes sont utilisés à fortes doses en traitement d'attaque, souvent accompagné d'immunosuppresseur. Les corticoïdes devraient décroître rapidement et être arrêté, mais de nombreux patients conservent une dose minimum au long cours, voire au très long cours. Les effets secondaires des corticoïdes peuvent être : - Prise de poids (nécessité d'un régime alimentaire sans sel et sans sucre)

- Perte de sommeil / insomnies
- Ostéoporose
- Diabète cortico-induit
- Irritabilité / troubles du comportement
- Problèmes digestifs
- Problèmes cutanés
- Dépression
- Insuffisance surrénaliennes
- Etc

Les effets secondaires liés aux immunosuppresseurs peuvent être :

- Infections
- Infections opportunistes
- Fatigue
- Nausées
- Diarrhées
- Etc

Ces traitements sont censés contrôler l'activité de la maladie. Il n'y a pas de traitement spécifique pour les patients qui ont de l'asthme, à part les traitements conventionnels qui restent très limités dans leurs actions.

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

Mieux gérer l'asthme et limiter son impact au quotidien. Diminuer, voire arrêter les corticoïdes.

4. Expériences avec le médicament évalué

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

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

- *Épargne cortisonique et donc diminution importante des effets secondaires liés aux corticoïdes*
- *L'entourage est soulagé et rassuré par rapport à l'irritabilité / les troubles du comportement du proche malade*
- *Les patients ne se sentent pas pénalisés par le mode d'administration du médicament*
- *Retrouver une autonomie dans la vie de tous les jours, aussi bien sociale que professionnelle.*
- *Le seul point qui est parfois discuté est la nécessité de surveillance après injection mais relativement bien accepté par les patients en regard du bénéfice sur leur santé.*

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.

Quelques mots exprimés par les patients consultés :

- « miraculeux ! »
- « change la vie »
- « moins lourd à organiser »
- « autonomie retrouvée »
- « arrêt des corticoïdes »

6. Synthèse de votre contribution

- L'épargne cortisonique et donc des effets secondaires liés aux corticoïdes est le point le plus important.
- Meilleur contrôle de l'asthme pour retrouver autonomie et meilleure qualité de vie
- Entourage plus serein
- Impact positif important sur le moral des patients et donc un meilleur suivi de leur prise en charge personnelle

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.