

## 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 : <Nom du médicament >  
Indication(s) du médicament concernées : <Indications sur lesquelles vous avez répondu>**

Nom commercial\* Nucala

Dénomination commune internationale (DCI)\* : MEPOLIZUMAB

Indication pour laquelle la GPFD a répondu :

**NUCALA (mépolizumab) / Réévaluation chez l'adolescent et l'enfant âgé de 6 ans et plus, en traitement additionnel, dans l'asthme sévère réfractaire à éosinophiles.**

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 :

Gregory Pariente Foundation (GPFD)

23 rue des Apennins 75017 Paris

|  |
|--|
| <b>1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire</b> |
|--|

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).

Remarque préliminaire : Je ne sais pas quel est l'objet de ce dossier ; La personne habilitée de la HAS que j'ai sollicité pour un complément d'explication sur cette demande m'a dit que ce n'était pas une réévaluation mais qu'elle n'était pas en mesure de me dire l'objet mais elle m'a incitée vivement à répondre sur certaines

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

parties du questionnaire tel que l'expérience de la GFFD sur le NUCALA et le besoin thérapeutique

Pour répondre à cette question, je me suis appuyée sur la dernière AMM disponible et sur ma revue de presse en temps réel et l'avis des experts qui nous aident (bénévolement bien sûr) dans notre mission, vis-à-vis des patients, d'information, de réponses autant que possible à leurs attentes et d'être leur porte-parole

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

Uniquement moi, le Dr Françoise Pariente Ichou, la seule scientifique dans l'équipe familiale réduite de la GPFD et ne faisant pas partie du bord de direction

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

**non**

### **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 ?**

*Par exemple :*

- *Symptômes les plus importants à contrôler : par exemple difficultés respiratoires ou motrices, douleur, fatigue, incontinence, anxiété*
- *Impact fonctionnel : incapacité/difficulté à effectuer certaines activités,*
- *Impact social/relationnel : perte de capacité au travail/à l'école, perte de confiance, difficultés relationnelles, impact sur la santé mentale, impact financier, sur l'évolution professionnelle*
- *Nécessité d'une aide pour la vie quotidienne*
- *Equilibre familial*
- *Relation intime, troubles sexuels*

La GPFD a peu de contact chez les moins de 10 ans, sauf pour des demandes d'aide à obtenir un RV chez un pneumo-pédiatre. Pour les 10-18 et même 10-25, ans essentiellement la toux sous différentes formes et conditions de survenue (impactant le sommeil), les difficultés à respirer et les activités du quotidien difficiles sont handicapantes.

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

Mais cela vaut sûrement aussi pour les 6-9 ans.

FORT HANDICAP chez les jeunes (et pas seulement) (cf. ci-dessus paragraphe « invalidant »). en difficulté lors de crises.

La qualité de vie est altérée chez les jeunes asthmatiques, surtout les asthmatiques étiquetés « sévères » (c'est une évidence).

Retentissement physique, physiologique, psychologique (renforcé en période COVID) et sociologiques car les jeunes se trouvent en décalage par rapport à leurs camarades : Toux et difficultés respiratoire handicapantes, absentéisme avec besoin de faire appel aux copains par eux-mêmes et par le biais de leurs parents pour rattraper les cours manqués.

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

*Par exemple :*

- Effets émotionnels/ psychologiques, fatigue, stress, dépression, difficultés physiques
- Equilibre familial
- Relation intime, vie sexuelle

Parents (et frères et sœurs plus âgés) très inquiets et très affectés par la maladie de leur proche et pour les parents sont souvent démunis car tentant d'accéder à un pneumologue mais les délais sont trop longs par rapport à leur perception de l'altération physique (sphère respiratoire) causée par la maladie

Cause très fréquente d'absentéisme parental retentissant dans la vie des parents et dans leur vie de couple)

## **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 ?**

*Par thérapeutique, il faut entendre toute forme d'intervention (utilisation d'un médicament, dispositif médical, rééducation, suivi psychologique, prises en charge hospitalières, médecine alternative ou complémentaire, ... etc). Si aucune thérapeutique n'est disponible, ceci doit être mentionné.*

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

Peu de retours en direct pour ce qui concernent les petits car nous sommes surtout sollicités chez les 10 ans et plus, sauf rares exceptions (parents inquiets en demande d'aide pour un RV chez un pneumologue

Pour les 6-11 ans à ma connaissance, parmi les médicaments de l'asthme sévère, une seule biothérapie en addition des corticoïdes à doses maximales est commercialisée, à ce jour, un anti IgE efficace dans les asthmes sévères à profil

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

allergique (Ig E dans le sang, test cutané) et surtout pour les asthmes débutant dans l'enfance et donc l'attente d'alternatives est forte.

Pour les 6-11 ans, pour les asthmes sévères éosinophiliques, certes rares (15 % à ma connaissance,) rien n'est commercialisé à ce jour ; le mépolizumab a l'indication thérapeutique mais il est non utilisé en absence d'une forme adaptée à la posologie et d'usage facile (seringue prête à l'emploi, auto-injectable) mais si elle devenait disponible cela deviendrait un avantage (attente forte des parents de patients.

Pour les 12-18 ans et même les 12-25 ans, tranches des adolescents selon les définitions, les besoins et dont les attentes selon nos experts concernent aujourd'hui plutôt les patients avec des taux bas d'éosinophiles (entre 150 et 300 000) où aucune étude n'est publiée à ma connaissance et là encore la demande de nouvelles alternatives est faite par des parents qui nous signalent avoir leur enfant non répondeur ou en échec au ZOLAIR après plus de 6 mois d'utilisation. (pas de retour direct sur l'usage du NUCALA, ni sur l'efficacité, ni sur la tolérance))

EN RESUMÉ pour le Mépolizumab, à ce jour a pour inconvénient de ne pas disposer d'une forme adaptée à leur AMM chez les 6- 11 ans (demande des parents et médecins) et pas d'études chez les enfants avec un faible taux d'eosinophiles (entre 150 et 300) où la demande est bien présente chez les pneumo- pédiatres)

*Par exemple, lister les principales thérapeutiques utilisées et décrire leur impact en termes :*

- *d'administration/de prise du traitement (fréquence/rythme, traitement à domicile/à l'hôpital, facilité d'accès, actions spécifique du patient ou de l'entourage), de consultations, d'exams complémentaires (bilan et surveillance biologique, radiologique), de prise en charge associée (kinésithérapie, psychiatrie)*
- *d'efficacité sur le contrôle ou la réduction des aspects les plus difficiles de la maladie*
- *d'effets indésirables en précisant ceux les plus difficiles à tolérer et ceux acceptables*
- *de répercussion sur la vie quotidienne : impact scolaire/ professionnel, impact physique, impact financier, impact sur l'entourage.*

*Préoccupations sur l'usage à long terme de la thérapeutique existante*

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

**Disposer d'un maximum d'alternatives aux biothérapies disponibles pour leur enfants, trop peu nombreuses à ce jour en regard de ce qu'ils lisent ou entendent**

**voici le verbatim type « le zolair c'est très bien mais quand cela ne marche pas ? à quand les nouveautés annoncées ? »**

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

Pour ma part, (bien que non demandé), en rédigeant le formulaire (long et contraignant) sans disposer des précisions sur le motif de la demande sur ce dossier (ce n'est pas une réévaluation selon les informations complémentaires obtenues sur demande) il me semble qu'il serait bénéfique de :

- disposer d'une forme adaptée à leur AMM chez les 6- 11 ans, le laboratoire doit la mettre au point
- disposer (intérêt signalé par nos experts conseils) d'au moins une étude validée chez les enfants et ado avec quelques données chez ceux ayant un faible taux d'éosinophiles ayant compris que ces enfants sont peu nombreux avec ce profil à éosinophiles donc disposer de quelques cas

### **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 ?**

*Par exemple, en termes :*

*De facilité d'usage ou d'observance*

*D'efficacité, qualité de vie*

*D'effets indésirables*

*D'impact financier*

*D'impact sur l'entourage*

*D'impact sur la vie professionnelle et sociale*

#### **Pas d'expérience personnelle**

#### **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 ?**

Via la littérature, les limites des biothérapies administrées à des patients atteints d'un asthme sévère de phénotype T2 n'est pas documentée chez les enfants. Elles peuvent être approchés par l'étude « *Second Souffle* » menée dans le monde réel, à distance des essais contrôlés permet de souligner un paradoxe. Si la majorité des patients atteints d'un asthme sévère de phénotype T2 sont considérés par leur pneumologue comme répondeurs aux biothérapies ciblées, force est de reconnaître que, dans plus de deux tiers des cas, la maladie reste incomplètement ou non contrôlée. Environ 40 % des patients ont recours à la corticothérapie orale soit quotidiennement, soit plus de 3 fois par an. Les facteurs qui expliquent l'échec relatif de ces traitements méritent d'être mieux cernés pour améliorer le pronostic de l'asthme sévère.

Il restera à vérifier que si ce qui est observé chez l'adulte est à l'identique chez les enfants.

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

**En attendant les patients sont dans l'attente de la mise à disposition du NUCALA en seringue prêt à l'emploi a la dose enfants pour les 6-11 ans et cette attente est forte essentiellement car la maladie est grave et invalidante et qu'elle permettra d'être une alternative au Xolair surtout quand « il ne marche pas »**

**AUTRE POINT soulevé : avec une biothérapie adaptée au profil éosinophile chez les enfants et les adolescents, les parents de patients signalent que cela évitera la répétition des cures courtes de corticoïdes dont ils savent que les effets secondaires sont possibles et nuisibles pour leurs enfants.**

## **5. Information supplémentaire**

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

Il n'est pas inutile de rappeler que l'asthme sévères est une maladie **rare, grave et invalidante** et que toute nouvelle biothérapie est réclamée par les parents ;

## **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.*

Par exemple:

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...

Les thérapeutiques actuelles sont (in) adéquates parce que ...

Le médicament répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que...

(...)

**Mes réponses figurent en amont aussi détaillées que possible que j'incite à lire en commission si cette contribution est jugée utile**

- Attente majeure

Ce sera le premier médicament disponible pour nos jeunes asthmatiques de 6 à 11 ans présentant un asthme sévère à Éosinophiles si une forme d'administration ADAPTÉE est mise à disposition. Cela nous paraît clairement un besoin.

- Autre attente majeure:

Eviter de devoir recourir à des nouvelles cures de corticoïdes oraux ce que permettra la mise à disposition d'un maximum d'alternatives dont celle-ci au sein des biothérapies quand un enfant est éligible et sans oublier les adolescents pour lequel plusieurs biothérapies sont disponibles, et « c'est tant mieux » ,les pédiatres spécialistes et pneumo-pédiatres choisissant , comme ils nous le disent

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

pour nos patients, « en réunion multidisciplinaire, la biothérapie la plus adaptée selon le profil dominant des jeunes en faisant toujours participer les parents au choix du traitement en fonction de l'attente de chaque jeune»

Pas vraiment de crainte avec le Nucala car il n'est pas à sa première mise sur le marché ;

Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse [contact.contribution@has-sante.fr](mailto:contact.contribution@has-sante.fr) ou de nous appeler au 01 55 93 71 18.