

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 : < CAPRELSA >

Indication(s) du médicament concernées : < cancers médullaires (CMT) avancés/métastatiques >

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 « Vivre sans Thyroïde
2 avenue d'Expert – 31490

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

- Appel à témoins sur notre forum de discussion et sur notre page Facebook, groupe Facebook et sur Twitter
- Envoi de mails à quelques personnes membres du forum qui ont pris du Caprelsa dans le passé
- Exposé devant les spécialistes du réseau TuThyRef, lors d'une conférence, pour leur demander de parler de cette évaluation à leurs patients traités par Caprelsa, pour qu'ils me passent un coup de fil
- Ensuite, j'ai envoyé aux patients qui m'ont contactée un extrait du questionnaire par mail, pour qu'ils sachent quelles questions étaient posées
- Réponse par mail ou par téléphone
- Période : 5 janvier au 5 février 2018
- Participants : 6

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

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

Aucune (contact direct entre la présidente de l'association et les patients concernés)

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 ?

Patient 1 (Caprelsa pendant 4 ans, puis échappement thérapeutique) : Diarrhées chroniques, hypertension, peau des mains déshydratées, taches brunes sur les pieds, chevilles et début des jambes. Mais le Caprelsa était excellent pour le moral puisque la Calcitonine était redescendue à zéro. Ce résultat est la seule chose qui compte.

Patient 2 (Caprelsa depuis les premiers essais cliniques, 2007, jusqu'à ce jour) : Ma thyrocalcitonine était supérieure à 1000 en 2005, et mon ACE à 60, maintenant TCT à 120-140 et ACE à 9 ! Pratiquement plus de troubles de la motricité intestinale ni hypersudation. Par contre, depuis 2008, j'ai des troubles de la marche et de l'équilibre qui vont en s'accroissant. Je me déplace avec une canne. Sensation de fatigue fréquente. Quelques difficultés de déglutition/fausses routes.

Patient 3 (Caprelsa depuis quelques mois) : Ce qui a impacté ma vie, et celle de mes proches, c'est avant tout le cancer, avant d'être le traitement.

Patient 4 (Caprelsa depuis 2008 jusqu'à ce jour, maladie stable) : je me suis arrangé avec les effets secondaires (peau, fatigue ...), car le fait d'avoir une maladie qui n'évolue pas, ou peu, n'a pas de prix.

Patiente 5 (Caprelsa depuis plusieurs années) : grande fatigue, épisodes de diarrhée, fréquentes tous les 2,3 jours parfois difficiles à gérer tant le transit est rapide! je dois prendre smecta et loperamide légers maux de ventre au moment de la digestion des repas, surtout après avoir mangé des crudités ongles cassés, taches et boutons qui apparaissent sur le corps, anxiété et stress difficultés respiratoires après la marche ou quelque exercice physique pertes de confiance en moi, dépression, photosensibilisation

Patient 6 (Caprelsa depuis plusieurs années, commencé via un essai thérapeutique, comme les autres patients « longue durée » ayant participé à cette évaluation) : avant les essais thérapeutiques, perte des capacités vocales. Le diagnostic sombre a induit des troubles psychologiques sur l'entourage et sur moi-même. La calcitonine élevée provoquait de fréquentes diarrhées – grandement améliorées sous Caprelsa. Depuis le traitement, j'ai rapidement retrouvé une vie sociale et professionnelle proches de la normale, ce qui me permet de supporter les quelques troubles secondaires.

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

Patient 1 : Mon cancer médullaire donnait beaucoup de soucis à mon épouse.

Patient 2 : mon entourage n'est pas affecté, mes amis connaissent mes difficultés et sont attentionnés à mon égard.

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

Patient 3 : Ma maladie affecte mon entourage. Impossibilité pour la famille de comprendre. Conjoint qui a arrêté de travailler pour être aidant, stress maximum, il est sous antidépresseurs.

Patient 4 : Ma famille s'est habituée à la maladie.

Patiente 5 : équilibre familial perturbé

Patient 6 : Effets émotionnels, stress, affecte l'équilibre familial

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 ?

Patient 1 : La chirurgie, dans mon cas, a été 5 fois le moyen de ralentir la progression du cancer médullaire.

Patient 2, 3, 4, 5 : ne se prononcent pas, ne connaissent que leur traitement actuel et font confiance au centre qui les suit

Patient 6 : aucun traitement spécifique n'existe, en-dehors du Caprelsa et d'une molécule semblable.

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

Le plus d'efficacité possible avec le moins d'effets secondaires possibles. Ils souhaitent que le traitement ait au moins une réponse partielle, permettant un retour à une vie sociale normale.

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 ?

Patient 1 : Le Caprelsa a bloqué le cancer médullaire durant 4 ans. C'était inespéré.

Patient 2 : Quelques effets secondaires, qui restent gérables. Ce médicament, pris depuis 2007, permet de stabiliser ma maladie. La thyrocalcitonine, qui était > 1000 en 2006, est maintenant à 120-140, et l'ACE est passé de 60 à 9.

Patient 3 : Les effets de la maladie (diarrhées, flush, fatigue intense, essoufflement) sont atténués par le traitement. Les contractions musculaires involontaires sont stables. Le Caprelsa a donc amélioré ma qualité de vie. Effets secondaires du Caprelsa : nausées et vertiges (surtout au moment de changement de dose), problèmes cutanés, sensibilité de la peau au froid et à la lumière, sensibilité de la bouche, allongement du QT, hypothyroïdie, calcémie instable, insomnies.

Patient 4 : Le traitement a permis de stabiliser mon cancer (pourtant progressif et métastatique), et ce depuis bientôt 10 ans – cela permet de relativiser par rapport aux effets secondaires.

Patiente 5 : divers effets indésirables – mais c'est le prix à payer pour ralentir la progression de la maladie.

Patient 6 : le traitement a amélioré les troubles de voix et la diarrhée, et m'a permis de retrouver une vie sociale et professionnelle proches de la normale, qui me permettent de supporter les quelques troubles secondaires. Simplicité de la prise du traitement : 1 comprimé tous les matins. Dès le 1^{er} trimestre de traitement, l'efficacité a été montrée par une baisse des paramètres traceurs (TCT et ACE) et une diminution du volume des tumeurs. Pour ma part, les effets secondaires (photosensibilité, troubles circulatoires et hypertension) ont été facilement maîtrisés.

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

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 ?

Patient 1 : Je n'ai pas du tout apprécié les articles de la revue « Prescrire » (2013) au sujet du Caprelsa. A l'époque, j'ai eu très peur que l'AMM du médicament soit retiré et que mon traitement soit arrêté – alors qu'il avait fait régresser ma tumeur et baisser mes marqueurs.

5. Information supplémentaire

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

*Patient 1 : Ce que je peux dire est simple. J'ai pris du Caprelsa durant 4 ans et petit à petit ma calcitonine est retombée à zéro. Ce qui est extraordinaire. 4 années de satisfactions faisant oublier les petits inconvénients (tension, diarrhées...)
Puis mon cancer a muté, mais ce n'est pas la faute du Caprelsa.*

Patient 3 : contraintes : il faut un suivi médical très régulier. La majorité des psychotropes ne sont pas compatibles avec le Caprelsa. Certaines maladies obligent à un arrêt temporaire (gastroentérite).

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...

(...)

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont la fatigue et les diarrhées (fréquentes et intempestives). Le médicament permet de les atténuer.

Quand il fonctionne (parfois pendant de très longues périodes : certains patients le prennent depuis 2007/2008, et il continue à stabiliser leur maladie), les effets secondaires (problèmes de peau, photosensibilisation, allongement du QT, hypertension ...) sont assez bien acceptés.

Le médicament répond aux besoins et attentes des patients : Chez les quelques patients interviewés, a permis de ralentir ou de stopper l'évolution de leur maladie, tout au moins pour un temps (qui, chez certains, peut être très long, allant de 4 à plus de 10 ans).

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 73 40 ou 01 55 93 73 72.