

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 : Zynteglo Indication(s) du médicament concernées : Bêta-thalassémie

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 :

Fédération nationale des associations de malades drépanocytaires et thalassémiques SOS GLOBI
FMDT SOS GLOBI
CHU Henri Mondor
Laboratoire de Biochimie
51 avenue du Maréchal de Lattre de Tassigny
94000 Créteil

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

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).

Afin de répondre au présent questionnaire et de retranscrire fidèlement le ressenti des patients touchés par une bêta- thalassémie transfusion dépendante, nous avons puisé dans plusieurs sources d'informations, avons interrogé un échantillon de patients en direct et avons demandé à un autre groupe de relire les réponses et de nous faire part de leurs commentaires.

SOURCES DOCUMENTAIRES :

Parcours de vie avec une bêta thalassémie transfusion dépendante-recueil qualitatif auprès de patients et de professionnels de santé. 2018-2019

Cette étude, encouragée par la fédération FMDT-SOS GLOBI, a été financée par la société de biotechnologie Bluebirdbio. Elle a été réalisée de manière indépendante par le cabinet ARGO Santé avec la collaboration des professionnels de la santé de la filière MCGRE (Henri Mondor à Créteil, Brabois-enfants à Nancy et Necker-enfants malades à Paris) et du cabinet nile.

Cette étude analyse le témoignage de 16 individus (parents, patients, partenaires) afin de rendre compte du parcours de vie avec une bêta-thalassémie transfusion dépendante. Les résultats de cette étude ont vocation à être publiés dans une revue scientifique à comité éditorial et un abstract a déjà été soumis pour une conférence (Rare 2019).

Atelier rencontre et échanges entre patients-Journée Mondiale de la Thalassémie 2019- Résumé des présentations

Les 3 & 4 mai s'est tenue à Marseille la première conférence sur la bêta- thalassémie organisée en France à l'occasion de la Journée mondiale de la Thalassémie. Une matinée d'échanges entre patients a été organisée lors de cette conférence par notre association. La matinée a été animée par la Présidente de la Fédération SOS GLOBI et le médecin coordonnateur du centre de référence maladies rares constitutionnelles du globule rouge et de l'érythroïèse de Marseille. **40 personnes ont participé à cet atelier** (patients, parents, conjoints, enfants, membres de la fratrie). Un compte rendu a été produit et est en cours de publication avec le soutien de la filière santé MCGRE.

CONSULTATION DE PATIENTS ET PARENTS :

5 patients/parents d'enfants touchés par une bêta-thalassémie transfusion dépendante ont été consultés.

Nous avons complété le questionnaire avec la participation de 2 patients et 1 parent d'enfant. Nous avons ensuite demandé à 1 autre patient et 1 parent de relire le questionnaire et de le valider. L'ensemble des participants ont validé le questionnaire finalisé.

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

Président de l'association et bénévoles de l'association

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

L'étude « *Parcours de vie avec une bêta thalassémie transfusion dépendante* » a été financée par la société de biotechnologie Bluebirdbio. Elle a été réalisée de manière indépendante par le cabinet ARGO Santé avec la collaboration des professionnels de la santé de la filière MCGRE

Haute Autorité de Santé, septembre 2017.

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

(Henri Mondor à Créteil, Brabois-enfants à Nancy et Necker-enfants malades à Paris) et du cabinet nile.

La conférence pour la Journée Mondiale de la Thalassémie 2019 a bénéficié du soutien financier de la Fédération Internationale de la Thalassémie (TIF), du laboratoire de biotechnologies Bluebirdbio, du laboratoire Apopharma, du laboratoire Celgene. Le centre de référence MCGRE de Marseille ainsi que la filière santé MCGRE ont participé à l'organisation de cette conférence.

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

La bêta-thalassémie transfusion dépendante affecte la qualité de vie au quotidien en impactant la vie professionnelle, la vie sociale et la vie familiale. La bêta thalassémie a également des conséquences psychologiques.

Le quotidien des patients atteints de bêta-thalassémie transfusion dépendante se trouve organisé et adapté autour de la prise en charge médicale de la maladie : le rythme des transfusions toutes les trois à cinq semaines sur une journée complète nécessite des adaptations constantes dans la vie scolaire et professionnelle des patients et/ou des parents. Ainsi, les patients se voient-ils obligés de mettre en place différentes stratégies pour que la prise en charge impacte le moins possible leur vie professionnelle ou scolaire : jours de congés pour les transfusions, aménagement des horaires de travail, transfusions les mercredis, absentéisme au travail des parents, etc.

Les patients sont également contraints de suivre un traitement chélateur du fer pour réduire le taux excessif de ferritine induit par les transfusions répétées. Ce traitement peut prendre plusieurs formes : il est le plus souvent administré par comprimés ou alors par injection (en continu pendant 8 heures, plusieurs jours par semaine). Ce traitement est très douloureux au point d'injection et impacte fortement la vie quotidienne et intime des patients.

Ce poids de la prise en charge pesant sur la vie des patients, certains font le choix de ne pas toujours suivre leur traitement selon la posologie indiquée au risque de mettre en jeu leur vie.

Les complications engendrées par la maladie, telle que la surcharge en fer sur les organes vitaux ou les glandes endocrines, l'ostéoporose, le risque de diabète, l'insuffisance cardiaque, la survenue de complications hépatiques, les insomnies, la fatigue chronique, la baisse de moral et les changements d'humeur, ainsi que la difficulté à trouver sa place dans la société sont les complications et symptômes jugées difficilement supportables par les patients.

L'état de santé ressenti est également une problématique concernant la plupart des patients ; la fatigue, l'essoufflement, la fragilité du système immunitaire, les effets secondaires des traitements notamment digestifs, sont les symptômes auxquels les patients doivent faire face au quotidien. La douleur (dos, articulations, cuisses, genoux, tiraillements musculaires, crampes...) est également un des symptômes fréquemment cités. Les patients jugent leur état de santé moyen au regard des limitations qui pèsent sur la vie quotidienne et leur état psychologique.

*- Impact fonctionnel : incapacité/difficulté à effectuer certaines activités, Impossibilité de réaliser des activités demandant trop d'efforts physiques (sport, mobilité réduite pour monter des étages, marcher sur de longues distances...)
Porter des charges lourdes (difficulté pour faire les courses alimentaires)*

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

Activités manuelles de préhension, impossibilité de rester dans une même position longtemps. Un adolescent explique ne pas pouvoir jouer dans la cour de récréation avec ses camarades et le fait d'être mis à l'écart des jeux des jeunes de son âge.

- Nécessité d'une aide pour la vie quotidienne

« Dans ma vie quotidienne, je compte beaucoup sur mes parents. J'ai une femme de ménage qui m'aide à la maison 2h/semaine, j'ai besoin d'aide pour faire les courses, et parfois quand je suis très anémiée, j'ai besoin d'aide pour assurer mon hygiène, besoin d'aide pour conduire, pour me déplacer. »

La bêta thalassémie a des conséquences lourdes sur la vie scolaire et professionnelle. *Les patients évoquent un absentéisme important lié aux hospitalisations et aux rendez-vous médicaux. Pour les jeunes et enfants scolarisés, il n'est pas toujours évident de rattraper les enseignements ratés lors des séjours hospitaliers, même s'ils sont planifiés. Une maman évoque les difficultés de compréhension des équipes pédagogiques malgré l'existence du Plan d'Accueil individualisé de son enfant atteint de bêta-thalassémie.*

Pour les adultes, l'accès et le maintien dans l'emploi est complexe : discrimination à l'embauche, perte de capacité au travail, perte de confiance en soi, difficultés relationnelles, impact sur la santé mentale, impact financier, impact sur l'évolution professionnelle, harcèlement collatéral des collègues ou de la hiérarchie...

Une patiente relate : « je suis incapable de travailler à plein temps (à mi-temps), cela entraîne évidemment une perte financière, aucune évolution de carrière n'est possible dans ma situation, pas d'augmentation non plus...Mes absences répétées ont des répercussions sur l'activité au travail, la charge de travail, la mise en difficultés des collègues, je suis dans un placard »,

La bêta-thalassémie a également un impact sur le relationnel,

Il reste difficile pour les patients de concilier des moments de détente, d'évasion ou de retrouvaille avec la famille à l'étranger par exemple, du fait de l'organisation drastique de la prise en charge qui contraint l'organisation de voyages et d'absences prolongées. L'état de santé lui-même a un impact sur les activités sociales ; Il est difficile de concilier une activité physique et sportive avec l'état de santé, de même que la fatigue réduit les activités ou contraint à annuler certaines activités sociales. Les patients évoquent avoir moins d'entrain et des difficultés à conserver des relations amicales sur le long terme en n'étant pas disponible, souvent hospitalisé...Les patients évoquent également des difficultés d'avoir une relation de couple (très compliqué, difficulté de compréhension de la maladie...Souvent des relations vouées à l'échec ou des relations de courte durée...Sentiment d'isolement, d'incompréhension ...).

La bêta-thalassémie a également un retentissement au niveau moral qui se traduit par l'angoisse des patients par rapport à l'évolution de la maladie, la difficulté à se projeter dans l'avenir.

Malgré une forte combativité, les patients et familles touchés par une bêta-thalassémie transfusion dépendante sont impactés psychologiquement par la maladie et les traitements répétés à vie. Beaucoup de patients adultes et de parents d'enfants malades ont montré au cours des entretiens individuels et collectifs réalisés dans le cadre de l'étude « parcours de vie avec une bêta-thalassémie transfusion dépendante » une certaine fragilité et des baisses de moral dans leur vie avec la bêta-thalassémie. Les patients font souvent référence à l'isolement et à l'enfermement dans la maladie.

Les patients et familles touchés par une bêta-thalassémie transfusion dépendante ont pour souci constant de gérer, contrôler, planifier et concilier les traitements avec la vie professionnelle, scolaire et familiale. Cela nécessite de nombreuses démarches et des efforts constants de gestion de cette prise en charge lourde. Les patients ont souvent un ressenti d'absence de liberté.

L'équilibre familial est impacté par la gestion des soins que ce soit à domicile ou à l'hôpital et par les examens médicaux réguliers. L'humeur fluctuante et la baisse de motivation dans la vie quotidienne affecte le cercle familial.

- Relation intime, troubles sexuels

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

La bêta-thalassémie transfusion dépendante peut entraîner un retard de puberté et le non-développement des caractères sexuels. Les patientes connaissent des cycles menstruels irréguliers voire de longues périodes d'aménorrhée. Les patients, eux se voient proposer des traitements hormonaux.

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

-Équilibre familial

« Pour l'entourage, je n'en parle pas. Ma famille connaît ma maladie et ses complications. Très peu de mes amis sont au courant, et ce de façon primaire » un patient

« Nous devons nous adapter et adapter nos activités au quotidien au rythme de notre enfant à cause de la fatigue. Par exemple, lorsque nous sommes invités chez de la famille ou des amis, nous ne nous attardons jamais, car notre enfant est fatigué. L'entourage doit également s'adapter au niveau de fatigue de notre enfant et s'inquiète beaucoup des suites de la maladie » un parent

- Relation intime, vie sexuelle

Les patients relatent des difficultés à initier ou maintenir des relations amoureuses. « Pour les relations intimes, personnellement j'ai du mal à m'y engager ou à me projeter dans une vraie relation. Je ne me contente que d'histoires courtes, en espérant sauter le pas un jour » un patient

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

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.

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'examen 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

Compte tenu du nombre important de traitements et de la lourdeur de la prise en charge médicale, nous avons choisi de répondre à cette partie sous forme de tableau Excel. Ce tableau démontre la lourdeur et les effets secondaires liés aux traitements actuels ainsi que l'impact de ces traitements et leurs préoccupations concernant cet usage à long terme.

CF TABLEAU EXCEL EN PIECE JOINTE

		ADMINISTRATION	FRÉQUENCE	LIEU DU TRAITEMENT	FACILITÉ D'ACCÈS	ACTIONS SPÉCIFIQUES DU PATIENT/ DE L'ENTOURAGE	IMPACT DU TRAITEMENT SUR SYMPTÔMES	AVANTAGES	INCONVÉNIENTS	RÉPERCUSSIONS AU QUOTIDIEN	PRÉOCCUPATIONS USAGE LONG TERME
Transfusion de culots globulaire		voie veineuse	Traitement variable en fonction des patients; rythme toutes les 2 semaines à toutes les 5 semaines	Traitement à l'hôpital	nécessitant de réaliser l'hôpital, un bilan avant (RAI) effectué à l'hôpital ou en externe, transfusion réalisée dans un centre spécialisé, nécessitant	accompagnement par les parents dans le cadre de la pédiatrie, transport médicalisé/conventionné ou frais véhicule	Maintien en vie, réduction de la fatigue, permettre les activités de la vie quotidienne	Maintien en vie	des effets secondaires importants (surcharge en fer, complications immunitaires, abord veineux...) Réalisé exclusivement en milieu hospitalier	Vie organisée et rythmée par le traitement, absentéisme nécessaire au niveau scolaire ou professionnel	Effets secondaires, atteintes d'organes, incapacité à être transfusé, impasse thérapeutique, non adhésion au traitement
chélation	Exjade	voie orale	Quotidien	A domicile	Sur commande en pharmacie	Être à jeun avant et après la prise du traitement, organiser les repas en fonction, planifier les commandes au niveau de la pharmacie	Élimination de la surcharge en fer	Maintien des organes vitaux	Effets secondaires importants, être à jeun avant et après, modalité de la prise	Nécessité d'organiser les repas en fonction de la prise du médicament	Efficacité, effets secondaires, non adhésion
	Desferal	voie veineuse, sous-cutanée ou intramusculaire	de plusieurs fois par semaine à quotidien pendant 8 heures	domicile/hôpital	Sur commande en pharmacie ou déplacement à l'hôpital pour administration	procédure de perfusion, nécessité suivi infirmier libéral, perfusion quotidienne à domicile ou déplacement à l'hôpital	Élimination de la surcharge en fer	Maintien des organes vitaux	Voie d'abord (bleus, nodules), contrainte sur l'organisation quotidienne, gestion lourde à domicile	Organisation quotidienne lourde, impact sur la vie sociale et la vie intime	Efficacité, effets secondaires, non adhésion
	Feriprox	voie orale	Quotidien	A domicile	Accessible en pharmacie hospitalière	Déplacement à l'hôpital pour récupérer la commande, prise du traitement à domicile	Élimination de la surcharge en fer	Maintien des organes vitaux	Effets secondaires importants		Efficacité, effets secondaires, non adhésion
	Traitement associé	Antibiotiques, acide folique, aspegic, Potassium, Hydroxyurée, Calcium, antalgiques, parfois cure de corticoïdes et rituximab en cas de	Administration orale/par perfusion	Quotidien	A domicile	En pharmacie de ville/milieu hospitalier pour les traitements perfusés	Adhérence du patient, certains effets secondaires (hydroxyurée)	Amélioration état général/correction de certains traitements et amélioration de la qualité de vie	Maintien d'un état général correct	Lourdeur de la prise quotidienne, nombreux médicaments, adhérence, effets secondaires	
Consultations	Spécialiste pédiatre/hématologue/interniste	NA	4 fois par an	A l'hôpital	Se déplacer à l'hôpital	Déplacement à l'hôpital, accompagnement par les parents dans le cadre de la pédiatrie, transport médicalisé/conventionné ou frais véhicule	Suivi de l'évolution de la maladie	Adapter les traitements et la prise en charge en fonction de l'évolution	Nécessité de planifier et de s'organiser; absentéisme...	Vie organisée et rythmée par le traitement, absentéisme nécessaire au niveau scolaire ou professionnel	Décrochage du suivi
Examens et consultations complémentaires	IRM cardiaque/hépatique/ostéodensitométrie... Consultations spécialistes: cardiologue, rhumatologue, gastro-entérologue,	NA	1 fois par an	A l'hôpital	Se déplacer	Déplacement à l'hôpital, accompagnement par les parents dans le cadre de la pédiatrie, transport médicalisé/conventionné ou frais véhicule	Suivi de l'évolution de la maladie	Adapter les traitements et la prise en charge en fonction de l'évolution	Nécessité de planifier et de s'organiser; absentéisme...	Vie organisée et rythmée par le traitement, absentéisme nécessaire au niveau scolaire ou professionnel	Décrochage du suivi
Bilans et Surveillance biologique		Examens réalisés par voie veineuse	Toutes les semaines	A l'hôpital ou en ville	Se déplacer	Déplacement à l'hôpital, accompagnement par les parents dans le cadre de la pédiatrie, transport médicalisé/conventionné ou frais véhicule		Adaptation du traitement et besoins transfusionnels	Voie d'abord, organisation	Vie organisée et rythmée par le traitement, absentéisme nécessaire au niveau scolaire ou professionnel	Décrochage du suivi
Kiné		NA	1 à 3 fois par semaine	En cabinet	Se déplacer/ trouver un praticien/connaissances de la pathologie	Prise de rdv, organisation de la vie, déplacement	Amélioration de la qualité de vie	Mieux être physique	Nécessité de planifier et de s'organiser; absentéisme...	Nécessité de s'organiser	
Psy		NA	A la demande	En cabinet/hôpital	Difficulté d'obtention de rendez-vous en milieu hospitalier	Reconnaissance du besoin, prise de rendez-vous	Amélioration de la qualité de vie	Meilleure santé mentale	Non pris en charge par l'assurance maladie	Nécessité de s'organiser	

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 ?

Les parents qui ont des enfants béta-thalassémiques suivent de très près les avancées médicales qui apporteront la guérison de leur enfant. C'est pour cette raison que certains parents font le pas de tenter la greffe de moelle osseuse pour leur enfant, qui n'est pas sans risque mais présente de bons résultats. Lorsque la situation se présente (présence d'un donneur sain compatible dans la fratrie), la greffe est systématiquement proposée à la famille. Bien que l'inquiétude du parent et du futur greffé soit perceptible, l'espoir d'une qualité de vie meilleure est plus fort.

Les attentes des patients adultes portent essentiellement sur une meilleure prise en charge et un allègement des traitements afin d'améliorer la qualité de vie. Plus précisément, des patients ont proposé d'être mieux accompagnés par les soignants et d'avoir un planning de transfusion adapté en fonction de leur état de fatigue.

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

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

Témoignage d'un patient traité par thérapie génique recueilli lors de la rencontre entre patients et parents d'enfants lors de l'étude « parcours de vie dans la bêta-thalassémie ».

« J'avais 15 ans quand la thérapie génique est arrivée. J'attendais ça depuis tout petit. Ne plus prendre de médicament, c'est une liberté ! [...] on est mieux dans sa tête. Le fait de ne plus aller à l'hôpital... je peux envisager des études à l'étranger. Au niveau sportif, je n'ai plus de limite. [...] Moralement, je me sens comme tout le monde »

« Moi je trouve que le bon côté d'une greffe c'est l'opportunité qu'on a attendu toute notre vie et ce serait bête de la refuser et en plus si ça marche, parce qu'il y a toujours un pourcentage de risque mais au final... Est-ce que ce n'est pas mieux de risquer de n'être plus malade mais d'avoir un certain pourcentage de chance de ne plus l'être, plutôt que de rester malade toute notre vie ? »
(Patient, 20 ans, traité par thérapie génique)

Les patients touchés par une bêta-thalassémie transfusion dépendante sont conscient de la lourdeur du traitement par Zynteglo et du fait de prendre un risque en suivant le protocole de thérapie génique. Cependant, la majorité d'entre eux est prête à prendre ce risque qui leur permettrait de pouvoir mener une vie normale.

En tant que représentant des associations de patients, nous souhaitons qu'un accès égal à ce traitement puisse être accordé aux patients éligibles. Cela passe également par la prise en charge sociale adaptée pendant le traitement (coûts additionnels liés au déplacement et à l'hébergement du patient et de sa famille par exemple, afin de pouvoir recevoir le traitement dans un centre habilité à réaliser la procédure).

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 ?

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

5. Information supplémentaire

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

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...

(...)

Vivre avec une bêta-thalassémie transfusion dépendante représente un ensemble de défis quotidiens qui tiennent à la fois des symptômes inhérents à la maladie (fatigue, douleurs, faiblesse immunitaires, complications concernant les organes vitaux, comorbidités...) mais également des traitements eux-mêmes (la place importante de l'organisation des soins, des séjours hospitaliers et des examens médicaux dans la vie quotidienne, les complications et effets secondaires entraînés par l'ensemble des traitements pourtant vitaux). Malgré une prise en charge experte de la maladie et une augmentation de l'espérance de vie, la vie des patients atteints de bêta-thalassémie transfusion dépendante et de leur famille demeure extrêmement contrainte avec une qualité de vie impactée et le décrochage est souvent fréquent face à la lourdeur de cette prise en charge. Avec l'augmentation de l'espérance de vie et l'allongement en conséquence de la durée de ces traitements, les patients adultes touchés par une bêta-thalassémie transfusion dépendante peuvent faire face à l'impasse thérapeutique (allo immunisation, hémochromatose ...)

Zynteglo répond aux attentes des patients et de leurs familles car il constitue une alternative majeure à la prise en charge actuelle en apportant un espoir de guérison et donc la perspective de mener une vie normale.

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.