

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

Évaluation de : Brolucizumab Indication(s) du médicament concernées : DMLA exsudative

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 DMLA CHI de Créteil - Service Ophtalmologie
40 avenue de Verdun – 94000 CRÉTEIL

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).

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

Des bénévoles de l'Association DMLA et des patients atteints de DMLA exsudative, des personnes de leur entourage et des membres du Conseil d'Administration de l'Association.

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

Pour répondre à ce questionnaire, l'Association DMLA a consulté ses adhérents et des responsables d'antennes pour recueillir leurs remarques, avis et doléances, des participants –adhérentes ou non à l'Association - aux diverses réunions organisées par des membres de l'Association.

Une synthèse de ces propos a ensuite été faite par des membres du Conseil d'Administration.

Du plus, plusieurs membres de l'Association ont participé à des réunions de travail de divers organismes publics ou privés organisées pour traiter les difficultés rencontrées dans la vie quotidienne, en particulier avec les transports, par les personnes atteintes de déficiences visuelles et de DMLA en particulier.

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

Par ailleurs, l'Association suit attentivement les avancées des recherches sur la DMLA soit grâce aux médecins du CHIC, soit en assistant à des conférences lors de Congrès médicaux, soit à travers les publications.

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 ?

La DMLA exsudative est une maladie chronique - avec tout ce que cela implique - dont l'évolution peut être rapide, en particulier si elle n'est pas traitée, qui se soigne mais que l'on ne guérit pas.

La baisse d'acuité visuelle, souvent importante, les déformations (métamorphopsies) et l'apparition d'une tache centrale (scotome) sont des symptômes fréquents. Ceux-ci ont un impact fort, non seulement sur le plan physique, pour l'accomplissement d'actions ou de travaux de la vie courante, lecture et conduite en particulier, mais aussi sur le plan psychique avec des épisodes dépressifs, parfois morbides, et asociaux.

L'inquiétude de l'atteinte du 2^{ème} œil est très anxiogène (risque d'atteinte du 2^{ème} œil 10 % par an). Elle est associée - à tort - au risque de cécité, entendue là comme aveugle.

Un des premiers impacts de la baisse de vue est l'interdiction de conduire. Cette interdiction provoque une perte d'autonomie importante toujours très mal ressentie et très mal acceptée.

Lors des enquêtes de l'incidence de la DMLA sur la qualité de vie, l'interdiction de conduire est le premier problème cité. Viennent ensuite la dépression et les difficultés pour effectuer des tâches qui demandent une vision des détails comme la lecture, la couture, l'écriture et en particulier remplir des formulaires mais aussi la contrariété à ne plus pouvoir reconnaître les visages.

Sans oublier les déformations des formes et des couleurs et la nécessité d'avoir des objets contrastés pour les voir : « ne pas choisir une assiette blanche pour servir du colin avec une sauce beurre blanc! »

Si généralement, les déplacements à l'intérieur d'un appartement connu sont faits sans accompagnement, les déplacements extérieurs sont plus difficiles malgré une vision périphérique qui permet de se situer dans l'espace.

De même, les déplacements à l'intérieur d'un local non connu sont difficiles.

La sensibilité à l'éblouissement devient forte, mais aussi à la luminosité et l'éclairage, ou plus exactement à leurs variations. Cela entraîne des risques de chutes en raison d'une estimation quasi impossible de la hauteur des marches ou des trottoirs, sans compter la lecture impossible des noms de rues ou des panneaux indicateurs, les traversées des rues périlleuses, la présence d'obstacles divers . . .

Après des examens ou une IVT, ces problèmes s'accroissent en raison de la dilatation des pupilles et d'une vision troublée après une injection dans l'œil .Il devient alors extrêmement difficile de se déplacer sans accompagnement, de plus la fatigue post-IVT impose pratiquement un retour en voiture.

Par ailleurs, l'existence d'une autre pathologie à côté de la DMLA comme la surdité ou un déficit cognitif n'additionne pas les problèmes, mais les multiplie comme l'ont montré plusieurs études avec comme conséquence d'accroître le risque de démence.

D'où l'importance d'une prise en charge rapide et aussi efficace que possible.

Ne pas oublier que la DMLA touche souvent des personnes seules, majoritairement des femmes, dont les revenus sont souvent limités. La fréquence des traitements avec la fatigue, les difficultés de transport et les coûts associés peuvent entraîner un arrêt des soins lorsque ces charges deviennent trop dures à supporter.

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

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

Avec une DMLA, même avancée, il peut y avoir la vision fugace d'un détail, voir une miette par terre sur des tomettes rouges, alors que les visages des personnes croisées ne sont pas reconnus. Cette particularité de la DMLA qu'il faut expliquer, provoque l'incompréhension de l'entourage qui s'exclame : mais tu vois très bien !

Aussi, les réactions de l'entourage, très proche, sont-elles très variables.

Souvent aide discrète et efficace, mais qui peut s'amenuiser au fil du temps, parfois une aide excessive fleurant l'infantilisation et provoquant ainsi des conflits, parfois négation de la maladie « c'est ton problème » et prise de distance pour ne pas « voir » la maladie.

Pour l'entourage moins proche qui ne sait pas que la personne est atteinte, il peut y avoir des méprises, sources de conflits, en pensant que la non salutation/reconnaissance est volontaire.

L'explication est nécessaire : « Mme C. ne vous dit pas bonjour quand elle vous croise parce qu'elle a une DMLA et ne voit que des formes ».

La sollicitation pour accompagner aux RV, en particulier quand il n'y pas de prise en charge des transports, finit par être acceptée difficilement en raison de la fréquence, et peut provoquer un abandon des traitements.

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 ?

Actuellement, pour traiter la DMLA exsudative, il existe trois molécules :

- Bévacizumab dont l'emploi est limité en raison des procédures de mise en œuvre
- Ranibizumab
- Affibercept dont le mode d'action est différent des deux précédentes

Chaque DMLA étant particulière, évoluant de façons différentes, avec des protocoles de suivi et des traitements qui varient, le patient est très sensible à la fréquence avec laquelle il revient pour les contrôles/injections, au nombre des IVT reçues et à sa vision globale plus qu'à son acuité visuelle mesurée qui souvent ne traduit pas son ressenti : « ma vision baisse, mais je lis toujours le même nombre de lignes » et ne se préoccupe pas trop des molécules utilisées pour l'IVT, information qu'il ne connaît d'ailleurs pas toujours.

Après la phase de prise en charge avec une série de 3 injections à un mois d'intervalle, la fréquence des IVT est variable d'un patient à l'autre en fonction de la réponse au traitement et de l'état constaté lors des examens (AV, Fond l'œil, OCT, OCT-A, angiographies, . . .) et de l'évolution depuis les derniers contrôles.

D'après les patients rencontrés, le nombre d'IVT - après la phase initiale - varie globalement de 6 à 10 par an chiffres qui peuvent varier beaucoup si le 2^{ème} œil est atteint de DMLA exsudative.

En contrepartie, au prix d'un nombre élevé d'injections; il y a généralement un maintien de l'acuité visuelle (déjà dégradée), même parfois un petit gain, ou un ralentissement de la dégradation, et aussi, une diminution des exsudats, mais dans 40 % des cas il n'y a pas d'assèchement malgré ce nombre élevé d'injections.

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

Mais chaque rendez-vous pour un contrôle/IVT est source de stress plus ou moins important :

- *que va me dire l'ophtalmologiste,*
- *le décollement s'est-il réduit,*
- *l'exsudation est-elle stoppée,*
- *va-t-il m'expliquer pourquoi je ressens toujours une baisse de vue, malgré cela la dernière fois il m'a dit que mon état était stable,*
- *mon 2^{ème} œil est-il atteint,*
- *vais-je avoir une IVT et être obligé de revenir*
- *mon IVT va-t-elle être aussi douloureuse que la dernière fois,*
- *dans la salle d'attente mon voisin m'a raconté qu'il avait eu une perte de vue temporaire après sa dernière IVT, est-ce que cela peut m'arriver et si ce n'était pas temporaire . . .*
- *...*

A cela s'ajoute les problèmes de transports, sachant qu'après une IVT il est difficile de se déplacer sans accompagnement.

Le recours à des transports conventionnés, remboursables par la CPAM, est difficile car la DMLA n'est pas une pathologie prise en compte comme ALD, condition nécessaire pour le remboursement des transports et le coût des transports devient une charge lourde. Des procédures existent, mais sont souvent ignorées.

Reste la famille, les amis et les voisins, plus rarement les transports mis en place par les municipalités ou les départements.

De plus, pour les patients traités en secteur privé – souvent pour des raisons de proximité - les dépassements d'honoraires, généralement peu pris en charge par les complémentaires santé, représentent une charge financière souvent importante.

Lorsque le 2^{ème} œil est atteint, ces soucis s'accroissent fortement.

Ces divers problèmes, auxquels il faut ajouter l'insatisfaction devant le bénéfice des traitements, sont les causes majeures d'abandon des traitements,

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

La principale préoccupation est de conserver son autonomie et son mode de vie avec ses occupations habituelles, déjà forcément adaptées en raison de la DMLA, ce qui implique un maintien ou une baisse modérée des capacités visuelles.

Les conséquences des injections répétées sont une source d'interrogations et de craintes :

- *combien puis-je supporter d'injections,*
- *quels risques d'effets secondaires, déchirures de la rétine, trous maculaires,*
- *quels risques d'inflammations dans l'œil ?*
- *on ne m'a pas tout dit sur les effets à long terme, . . .*
- *après tant d'injections les IVT sont-elles toujours efficaces,*
- *et si j'arrêtais, je ne supporte plus ce rythme des IVT,*
- *avec les sommes que j'investis dans ces traitements qui n'améliorent pas ma vue, je pourrais faire un voyage*

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

Moins de déplacements pour des contrôles ou des IVT tout en maintenant voire en améliorant les capacités visuelles existantes avec tout ce que cela implique (diminution des métamorphopsies, assèchement des exsudats. . .) pour les raisons évoquées précédemment, mais aussi ne plus subir des intervalles aléatoires entre deux rendez-vous : 4 sem., 4 sem., puis 12 sem., 4 sem. 8 sem., 4 sem., 4 sem. . . .

Protocole d'injection moins douloureux

Efficacité pour les patients pour lesquels les molécules existantes n'ont montré pas ou peu d'effet.

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?

Pas d'expérience, le Brolucizumab n'ayant pas encore reçu l'AMM en France.

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 ?

Les informations dont on dispose sont issues de publications ou de conférences et les résultats obtenus avec le Brolucizumab font que les traitements avec cette molécule sont attendus avec espoir et impatience.

Le délai de 12 semaines entre 2 injections (après la première phase de 3 IVT) pour plus de 50% des cas, avec sur 2 ans (durée de l'étude) un maintien de l'acuité visuelle est une avancée importante avec pour conséquences moins de stress, moins de transports, une diminution du fardeau financier pour certains et une meilleure vision du planning des rendez-vous ;

Ce délai de 12 semaine se retrouve dans les diverses communications, ce qui conforte les résultats annoncés.

Les patients qui ne répondaient pas aux anti-VEGF actuels ont l'espoir d'avoir un traitement.

L'assèchement des exsudats, malgré son aspect un peu technique pour les patients, est compris comme un bénéfice important, sachant que la marque première de la DMLA est l'exsudation des vaisseaux et qu'à chaque consultation l'ophtalmologiste en parle pour indiquer l'évolution de la DMLA.

5. Information supplémentaire

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

L'arrivée d'une nouvelle molécule/nouveau traitement moins lourd peut inciter des personnes atteintes qui avaient arrêté les soins à reprendre les traitements et ainsi limiter la dégradation de leurs capacités visuelles et garder leur autonomie.

Un certain nombre de personnes, dont les enfants des personnes atteintes, ne veulent pas se faire dépister au vu des difficultés liées aux soins et particulièrement à la fréquence des soins. L'arrivée de nouveaux traitements moins contraignants devrait permettre d'atténuer ces réticences

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

6. Synthèse de votre contribution

Les traitements actuels de la DMLA exsudative sont généralement efficaces mais contraignants pour les patients.

Les principales difficultés sont liées à la fréquence des contrôles/IVT, souvent mensuelle.

Ces difficultés sont liées aux problèmes de transports, à un niveau de stress élevé lors de chaque rendez-vous, à des difficultés d'organisation pour les rendez-vous et aussi aux coûts induits.

D'après les résultats des essais cliniques rapportés dans les publications ou les congrès, le Brolucizumab permet d'espacer ces contrôles/IVT en passant à une fréquence de 12 semaines, donc de diviser environ par 2 le nombre de rendez-vous d'IVT.

De plus, d'après les études, le Brolucizumab pourrait :

- être efficace sur certains patients mauvais répondeurs aux molécules utilisées actuellement,
- permettre aussi un meilleur assèchement des exsudats.

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.