

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 : Pradaxa (Dabigatran)

Indication(s) du médicament concernées : « Prévention de l'AVC et de l'embolie systémique chez les patients adultes atteints de fibrillation atriale non valvulaire et présentant un ou plusieurs facteur(s) de risque »

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 AVC 37
Service de Neurologie
Hôpital Bretonneau, CHRU Tours
2 Boulevard Tonnellé
37044 TOURS Cedex 9

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).

Interrogation par mail des adhérents de l'association, échanges entre les membres du bureau de l'association,

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

Les personnes les plus impliquées dans les réponses à ce questionnaire ont été celles habituellement les plus actives dans l'association.

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*

L'indication du traitement est la prévention des AVC et embolies systémiques chez des sujets en fibrillation atriale. Deux situations peuvent être isolées :

- la prévention primaire, les sujets n'ont jamais fait d'accident et seule la fibrillation atriale est présente, souvent asymptomatique. Il n'y a donc aucun impact direct de la fibrillation (la maladie) sur la vie quotidienne, mais un risque potentiel élevé de faire un accident potentiellement grave (AVC ou embolie systémique). Le retentissement est donc indirect, difficile à verbaliser pour les sujets traités car eux-mêmes et surtout l'entourage ont des difficultés à comprendre l'importance de ce traitement.
- La prévention secondaire, les sujets devenus patients à la suite d'un AVC ou d'une embolie systémique suivant le meilleur traitement possible pour éviter (ou au moins limiter le risque) la récurrence. L'importance du traitement est néanmoins contrebalancé par la nécessité d'une durée prolongée de prise, par les risques inhérents à leur action anticoagulante, amenant à un danger de mauvaise observance.

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*

Les effets de la maladie (fibrillation atriale) sont à ce stade essentiellement psychologiques, dominés par la crainte d'un AVC ou d'une embolie systémique chez un membre de leur entourage.

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 spécifiques 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

Les thérapeutiques existantes sont dominées par les anticoagulants qui ont démontré leur efficacité, en particulier par rapport aux antiagrégants plaquettaires. Deux classes thérapeutiques existent et ont l'indication basée sur de larges études cliniques : anti vitamines K et Anticoagulants oraux directs, auquel appartient le Pradaxa (Dabigatran).

- anti vitamines K : il est parfois difficile de conserver une efficacité régulière (INR entre 2 et 3), malgré des adaptations de la dose quotidienne. Il peut en découler soit un manque d'efficacité (AVC, embolie systémique), soit une majoration du risque hémorragique. La mise en place du traitement est souvent longue car l'obtention d'une action anticoagulante demande plusieurs jours. La nécessité de contrôles biologiques réguliers et l'impact de l'alimentation sur l'efficacité du traitement conduisent un certain nombre de personnes à interrompre le traitement. En revanche, la mesure de l'INR permettait d'évaluer l'action anticoagulante du produit.
- anticoagulants oraux directs : une efficacité atteinte dès la première prise permettant par exemple un retour à domicile rapide, la posologie fixe et l'absence de contrôles biologiques sont des avantages déterminants lorsque le médecin explique les différents traitements. La difficulté de déterminer l'action anticoagulante et l'absence d'antidote ont été longtemps des freins à l'utilisation de ces traitements. Ces réserves sont maintenant levées avec le Pradaxa (Dabigatran).

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

Une efficacité démontrée et une sécurité permettant d'éviter les complications attendues, en particulier hémorragiques lorsqu'on s'intéresse à un anticoagulant. Limiter ce risque est un élément capital dans l'observance au traitement, et donc dans l'efficacité recherchée.

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

La facilité d'utilisation du Dabigatran est un élément important : posologie fixe qu'il n'est plus nécessaire de modifier parfois plusieurs fois par semaine en fonction d'un prélèvement sanguin, insensibilité de son action aux variations de l'alimentation, diminution du risque d'hémorragie, existence de modalités reconnues pour antagoniser l'action anticoagulante en cas d'urgence (acte chirurgical, hémorragie).

La prise de ce traitement apporte une amélioration nette de la qualité de vie des patients, qu'elle soit personnelle ou professionnelle et sociale.

L'impact financier doit tenir compte de l'absence de nécessité de contrôler l'INR, de l'amélioration probable de l'observance et donc de la meilleure action préventive, d'une posologie fixe qui ne varie pas constamment en fonction de l'INR et de l'alimentation.

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 ?

Sans objet

5. Information supplémentaire

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

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

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...

(...)

La plus grande difficulté est de considérer comme utile voire indispensable un traitement qui est efficace pour réduire un risque important d'AVC ou d'embolie systémique pouvant compliquer une maladie souvent silencieuse (fibrillation atriale). Un bon contrôle des risques potentiels est donc capital, en favorisant une prise régulière à posologie fixe sans contrôles biologiques itératifs.

Les thérapeutiques traditionnelles (AVK) avaient des avantages (antidotes, évaluation de leur action anticoagulante par l'INR), mais ces qualités se retrouvent maintenant dans l'utilisation du Dabigatran. Les indications doivent néanmoins tenir compte des études cliniques réalisées, et ayant démontré l'efficacité du produit dans les différentes cardiopathies pouvant se compliquer de fibrillation atriale.

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