

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 : ZEPOSIA (OZANIMOD) Indication(s) du médicament concernées : SEP RR ACTIVE

Nom et adresse de l'association : Ligue Française contre la Sclérose en Plaques, 40 rue Duranton 75015 PARIS

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Aucun de nos bénévoles n'a participé directement à l'étude.

La contribution a été remplie avec l'aide des Patients Experts et de l'équipe opérationnelle de la Ligue. Nous avons utilisé toutes les sources auxquelles nous avons pu avoir accès tel que le site de la HAS, de l'EMA, les études et comptes rendus publiés, les témoignages.

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

La Ligue a interrogé également les neurologues de son réseau et le laboratoire CELGENE/BMS.

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 Sclérose en Plaques (SEP) est la première cause de handicap non traumatique du jeune adulte en France. Elle touche près de 115 000 personnes aujourd'hui et compte environ 5 000 nouveaux cas par an. C'est une pathologie dont la fréquence est en augmentation.

Les symptômes sont variés sauf pour l'immense fatigue qui touche la totalité des personnes.

- A elle seule la fatigue impacte profondément les personnes. Tout d'abord elle limite les activités personnelles et professionnelles des malades. Etant variable et aléatoire elle ne permet que rarement un aménagement du poste de travail. Elle est très mal perçue par l'entourage proche ou professionnel. La famille elle-même ne comprend pas cette fatigue, en particulier avant le diagnostic. L'entourage professionnel n'y voit, pour les collègues qu'une charge de travail supplémentaire pour eux-mêmes, pour l'employeur une perte de productivité.

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

- La motricité est ensuite un symptôme des plus courants. Le périmètre de marche diminue progressivement (sur des dizaines d'années) ou brutalement (quelques mois voire une attaque). Souvent les personnes peuvent atteindre la station debout même lorsqu'elles ne peuvent plus se déplacer que de quelques mètres en dehors du fauteuil. Cette possibilité de se lever est également très mal perçue par le public pour qui l'utilisation d'un fauteuil signifie la paralysie complète. La variabilité de la motricité entraîne également une grande difficulté d'adaptation du poste de travail.
- Les symptômes urinaires sont très courants et entraînent une difficulté à participer à la vie sociale par l'obligation régulière d'utiliser les toilettes ou la nécessité de se sonder ou d'être sondé. De plus ces difficultés entraînent nombre d'infections opportunes.
- Les troubles sexuels (dysfonction érectile et sécheresse vaginale) font partie des symptômes les moins mis en avant mais cela est dû à la pudeur de la part des malades et des médecins. Ils sont de plus en plus considérés comme des symptômes des plus précoces dans la maladie.
- La spasticité ressentie par certains malades entraîne des douleurs régulières et handicapantes qui nuisent à la qualité de vie personnelle mais également professionnelle. Nombre de personnes doivent arrêter leur activité professionnelle à cause d'elles.
- La dépression, longtemps considérée comme une pathologie parallèle à la SEP, est aujourd'hui considérée comme un symptôme à part entière existant de par l'effet de la SEP sur le cerveau.
- Les troubles cognitifs ne sont pas rares. Troubles de la concentration, de la mémoire ils génèrent autant de situations handicapantes différentes qu'il y a de personnes touchées par la SEP. Toutefois ils ont un impact terrible sur la santé psychologique des personnes et sur leurs capacités professionnelles.
- Les troubles de la vue sont courants, de modérés à sévères la situation de handicap qu'ils créent ne peut que difficilement être compensée par un appareillage ou de la rééducation. Baisse de la vue, diplopie impactent ainsi la vie des malades.

L'ensemble de ces symptômes visibles, mais surtout invisibles, entraîne un repli sur soi, une diminution rapide des liens sociaux, des liens familiaux et de couple due à une incompréhension et une difficulté à gérer les fluctuations de la maladie.

Professionnellement les situations de handicap moteur et cognitif sont source d'une réduction drastique des capacités à se maintenir dans l'emploi, à en trouver un. Les employeurs n'étant ni formés ni prêts à envisager des solutions pour pérenniser l'emploi des personnes ayant une SEP.

Il ne peut être fait de gradation dans les symptômes tant les situations personnelles sont différentes. Chaque symptôme impactant selon son type et sa gravité.

Ce n'est pas l'un des aspects de la Sclérose en Plaques qui pose plus de difficultés qu'un autre, c'est l'activité de la maladie qui pose des difficultés.

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

L'impact de la maladie sur les proches est très important également. La situation de handicap grandissant, les proches voient leur rôle changer vers le rôle d'aidant. Leur situation personnelle et professionnelle est impactée.

Situation personnelle avec un nombre très important de divorces, de dépressions chez les aidants comme pour toute maladie chronique ou dégénérative.

Situation professionnelle avec une diminution de l'activité pour se consacrer au proche malade.

L'aggravation de la situation de handicap, si elle est rapide et importante, rend le Patient totalement dépendant de son entourage ou de professionnels.

De plus l'entourage amical s'étiole rapidement dès le diagnostic.

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 ?

Il n'y a pas, aujourd'hui, dans la Sclérose en Plaques de traitement « plus adapté ». Il y a des traitements qui fonctionnent plus ou moins bien sur un nombre plus ou moins grand de personnes. Les SEP RR sont traitées par des interférons beta (Avonex, Betaferon, Extavia, Rebif), de l'acétate de glatiramère (Copaxone), du tériflunomide (Aubagio), du diméthylfumarate (Tecfidera) ou de l'ocrelizumab (Ocrevus).

Les deux derniers sont des traitements per os qui pourraient être considérés comme les « plus adaptés » mais ce serait un raccourci. L'un des facteurs de choix les plus importants pour les jeunes femmes traitées étant la possibilité d'être enceinte.

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

Les Patients attendent une thérapeutique efficace mais dont l'administration n'est pas plus contraignante ou plus dangereuse que la maladie elle-même.

Ils attendent un médicament qui empêche la survenue des poussées, car nous savons aujourd'hui qu'elles sont corrélées à la survenue rapide du handicap.

Les Patients souhaitent une solution à long terme, c'est-à-dire un traitement qui ait un effet long ou qui puisse au moins être pris sur de nombreuses années. La maladie se déclenchant à 20/30 ans, cela représente des dizaines d'années de vie avec la pathologie.

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 ?

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 ?

Positives :

Réduction significative du nombre de poussées

Effets secondaires connus peu nombreux

Per os sans horaires fixes

Gélules résistantes à la chaleur (à l'inverse de certains traitements imposant un respect du froid)

Peu contraignant en termes de suivi médical

Prescription en ville, retrait en pharmacie de ville

Négatives :

Persiste dans le corps 3 mois après la dernière prise

Pas de grossesse possible

5. Information supplémentaire

La Sclérose en Plaques est une maladie que la médecine ne guérit toujours pas. Les traitements ne permettent aujourd'hui que de réduire le nombre de poussées.

De nombreux patients sont en échappement thérapeutique malgré le nombre de plus en plus grand de traitements.

Nous ne pouvons pas nous passer de nouvelles possibilités, molécules, thérapeutiques au motif que certaines sont déjà accessibles alors qu'elles sont inefficaces sur certains patients.

6. Synthèse de votre contribution

Les poussées sont source de handicap. La médecine ne parvient aujourd'hui qu'à limiter ces poussées et grâce à la rééducation à limiter le fardeau du handicap.

La Sclérose en Plaques reste la première cause de handicap chez le jeune adulte. Sa prise en charge ne peut être résumée à une équation socio-économique, elle ne doit pas l'être.

Nous avons besoin de nouveaux traitements, plus efficaces, mieux tolérés et variés pour convenir à différents métabolismes et différents choix de vie.

Alors que nous parlons de plus en plus de décision médicale partagée, nous ne pouvons limiter ce dialogue soigné/soignant en réduisant le nombre des traitements.

Une personne bien soignée, c'est une personne qui travaille, crée de la richesse, s'éloigne des besoins de compensation.

Au regard des données de l'EMA, l'ozanimod est un médicament efficace dans la réduction des poussées, avec des effets secondaires connus moins importants que les traitements actuels (le laboratoire nous a indiqué que la très grande majorité des patients de l'étude continuent de prendre le traitement à ce jour).

C'est un nouvel élément pour l'arsenal thérapeutique et une nouvelle chance pour des patients de vivre une vie normale.