

# 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 : <Ruconest (Conestat alpha) >**  
**Indication(s) du médicament concernées : <Angio œdèmes héréditaires>**

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 :

AMSAO (association des patients souffrant d'agio œdèmes). 31 rue de Chateaufort. 91400. ORSAY

## 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).

Je m'occupe de cette association depuis 23 ans. je connais très bien la maladie. ainsi que de très nombreux patients rencontrés lors de nos réunions.

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?  
L'ensemble des patients rencontrés (plusieurs centaines)

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures et quelle est leur nature ?  
L'association ne reçoit aucune aide financière des industries pharmaceutiques délivrant des médicaments pour cette maladie.

## 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 ?**

Cette maladie provoque des œdèmes localisés dans différentes parties du corps, notamment la sphère abdominale (œdèmes très douloureux et incapacitant en l'absence de traitement), les membres, la sphère ORL (25% de décès par asphyxie en l'absence de traitement).

Ces œdèmes durent de 2 à 5 jours, et leur survenue est imprévisible, ce qui constitue une source d'anxiété pour les patients.

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

L'imprévisibilité du déclenchement des crises nécessite de bien anticiper afin de gérer au mieux la survenue d'une crise. PAI pour les enfants scolarisés, disponibilité des parents ou aidant pour gérer les périodes de crises des enfants, compréhension de l'employeur en cas d'absence répétée,....

## 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 ?**

La thérapeutique actuelle la plus performante est un médicament administré en injection SC (toutes les 2 à 4 semaines) en prophylaxie (société TAKEDA, un anticorps monoclonal, le TAKHZYRO) qui a eu récemment son AMM, et qui à ce jour a montré une efficacité remarquable et inégalée par rapport aux autres traitements disponibles. Il est réservé aux adultes et enfants de plus de 12 ans, mais son prix facial est extrêmement élevé (11450 Euros l'injection), ce qui conduit légitimement à le réserver aux cas les plus graves et après échecs répétés des thérapies de première ligne

Le traitement de crise par C1 inh (Berinert de CSL Behring) est efficace, ainsi que les autres concentrés de C1 inhibiteur (Cinryse ou Ruconest). Son injection en IV lente nécessite dans la plupart des cas une intervention extérieure (Urgences hospitalière, ou infirmière,....)

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

Supprimer ou diminuer au maximum de nombre de crises, et en cas de crise, être autonome pour s'administrer un traitement efficace.

## 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?

L'efficacité du Ruconest objet de cette évaluation est globalement comparable à celle des autres concentrés de C1 inhibiteur issus du plasma sanguin (Berinert et Cinryse)

Mais les tensions récurrentes sur les produits dérivés du sang (notamment rupture totale des stocks de C1 inhibiteur sanguin en 2017, Berinert et Cinryse) peuvent mettre les patients en danger, d'où la nécessité d'élargir le panel de traitement, notamment avec un concentré de C1inh non dérivé du plasma sanguin (Le Ruconest en l'occurrence).

#### 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 ?

L'expérience de l'utilisation du Ruconest confirme son excellente efficacité pour le traitement des crises sévères, mais démontre également une efficacité moindre dans les thérapeutiques préventives à cause de sa demi durée de vie plus courte que celles des C1 inh dérivés du sang.

### 5. Information supplémentaire

Les tensions sur les produits dérivés du sang sont récurrentes depuis quelques années, et sont susceptibles de s'aggraver à tout moment, notamment en cas de difficultés industrielle d'un des 2 fabricants, comme ça a été le cas en 2017 avec le Cinryse de Shire /Takéda.

Une source supplémentaire de concentré de C1 inh permet de sécuriser les approvisionnements de ces traitements, notamment de part le fait qu'il ne s'agit pas d'un dérivé sanguin, mais d'un recombinant fabriqué à partir du lait de lapines génétiquement modifiés.

L'expérience a montré que sans le Ruconest, la crise de la pénurie de C1 inh en 2017/2018 aurait pu avoir des conséquences très douloureuses pour les patients.

### 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.

Imprévisibilité de la survenue des crises.

Les crises atteignant la sphère ORL peuvent conduire à un risque mortel en l'absence de traitement. (dernier décès en date: novembre 2019, CHU de St Etienne, oedème laryngé, absence de traitement).

Les pénuries récurrentes de C1inh dérivés du sang incitent à introduire un produit complémentaire non dérivé du sang pour sécuriser la mise à disposition de traitements en cas de crises graves.