

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 : **Baqsimi**

Indication(s) du médicament concernées : **Prise en charge de l'hypoglycémie sévère pour les patients ayant un diabète de type 1**

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 :

L'Aide aux Jeunes Diabétiques (AJD) – 38 rue Eugène Oudiné – 75013 PARIS

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).

Différentes sources ont été utilisées pour compléter ce questionnaire.

1-Questionnaire à destination des familles concernées par le DT1

Méthode utilisée : Questionnaire Google Form anonyme

Diffusé en 2018 via le site internet de l'AJD, Facebook et par emailing aux adhérents de l'association

Analyse sur la base de 3330 répondants

2-Questionnaire à destination des familles concernées par le DT1

Méthode utilisée : Questionnaire Google Form anonyme

Diffusé en 2015 par emailing aux adhérents de l'association

Analyse sur la base de 1037 répondants

3-Groupe d'échanges dans le cadre du séminaire annuel des associations de Familles de l'AJD

4-Témoignages familles recueillis spontanément (mail, téléphone)

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

Collecte des données mise en œuvre par la directrice de l'AJD.

Les membres du bureau des associations de familles départementales de l'AJD.

La responsable du réseau des associations de familles, salariée de l'AJD.

Les données proviennent principalement des parents d'enfants et adolescents ayant un diabète de type 1, et des jeunes DT1

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

Aucune aide extérieure n'a été reçue pour la collecte des données et la réalisation des synthèses.

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 ?

Le diabète de l'enfant et de l'adolescent est dans 95% des cas un diabète de mécanisme auto-immun appelé diabète de type 1 (DT1) qui aboutit à un arrêt de production d'insuline par destruction des cellules Bêta pancréatiques. C'est une maladie chronique grave actuellement incurable avec, potentiellement, un risque vital (autour de 10 décès par an en France).

Compte tenu des modalités de sa prise en charge, le DT1 est une maladie chronique qui a un impact indiscutable, psychologique, scolaire et social, sur la vie du patient, celle de sa famille et de son entourage proche. Cet impact peut être influencé par le contexte social de vie de l'enfant. Du fait des modalités thérapeutiques et de surveillance à l'âge pédiatrique, les hospitalisations secondaires aux complications aiguës et des complications chroniques pouvant survenir à l'âge adulte, le diabète de l'enfant a fort impact économique pour la société.

Le DT1 comprend 2 types de complications :

1-Les décompensations aiguës, menaçantes à court terme :

-L'acidocétose par carence en insuline dont la fréquence est comprise entre 5 et 10 pour 100 patients-années.

-Les hypoglycémies sévères (HS) sont des hypoglycémies associées à des troubles de la conscience (perte de connaissance, convulsions, coma) par excès relatif ou absolu d'apport d'insuline. La fréquence est de l'ordre de 5 à 10 pour 100 patients-années. Leur impact sur la qualité de vie est très significatif (angoisse de la récurrence et maintien inadapté de la glycémie à un niveau plus élevé pour échapper à ce risque). Les conséquences sur le développement neurologique sont évoquées et un risque (limité) de décès est envisagé dans certaines conditions. Avec les progrès des traitements, de l'auto-surveillance et de l'éducation thérapeutique, les taux d'HS en pédiatrie ont été réduits depuis 20 ans mais sont encore à un niveau trop élevé.

2-Les complications chroniques à moyen et long terme :

L'exposition chronique à l'hyperglycémie aboutit à des lésions dites microvasculaires (atteintes rétinienne, rétinopathie jusqu'à la cécité) ; rénales (néphropathie jusqu'à l'insuffisance rénale, dialyse voire greffe rénale) ; des nerfs périphériques (neuropathie des membres inférieurs jusqu'à l'amputation) et des lésions macro vasculaires (atteintes coronariennes et vasculaires cérébrales avec infarctus du myocarde et accidents vasculaires cérébraux de l'adulte jeune).

Retentissement de la maladie sur l'enfant/adolescent

Le DT1 est omniprésent dans la vie de l'enfant et de sa famille. Le traitement nécessite une participation active des patients (jeunes et adultes) et des parents. Il a des répercussions sur toutes les dimensions de la vie quotidienne : l'alimentation, l'activité physique, la vie sociale et scolaire, les événements de vie intercurrents (stress, maladie), amenant à une surveillance 24h /24 et 365 jours par an. Il a donc un impact indiscutable, psychologique, scolaire et social, sur la vie du patient, celle de sa famille et de son entourage proche.

- **L'incidence de la dépression, de l'anxiété, de la détresse psychologique et de troubles du comportement alimentaire** semble plus élevée chez les jeunes ayant un diabète que chez leurs pairs en bonne santé (de 10% pour la dépression à 40% pour les troubles du comportement alimentaire des adolescents DT1). Les troubles psychosociaux sévères ou psychiatriques affectent plus sévèrement les enfants et les jeunes ayant un mauvais équilibre métabolique chronique, avec des hospitalisations itératives pour acidocétoses diabétiques récurrentes.

- **La qualité de vie des enfants a été montrée diminuée.** De plus, le stress familial lié au diabète retentit sur le contrôle glycémique chez les jeunes diabétiques de type 1.

- **L'analyse des retours des jeunes vers l'AJD montre que :**

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

-Les jeunes expriment un sentiment d'impuissance, une perte de contrôle de ce corps qui ne veut plus obéir, un corps qui décide à la place du jeune (tremblements, troubles de la vue, difficultés à parler, vertiges).

-Ces événements d'hypoglycémie sévère renforcent le sentiment d'être et de se voir différent des autres (ses comportements, sa non maîtrise etc...)

-Après l'hypo, les jeunes (principalement à l'adolescence) ressentent de la culpabilité de ne pas avoir senti l'hypoglycémie arriver, ne pas se gérer pendant l'hypoglycémie sévère, d'inquiéter les parents..., mais aussi la culpabilité de s'être donné en spectacle, la honte de soi, la colère contre soi (dévalorisation, perte d'estime de soi), la colère contre la maladie (qui se traduit par de l'agressivité) et la peur des prochaines hypoglycémies.

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

- **La qualité de vie des parents d'enfants DT1 a été mesurée en diminution**, avec un impact plus spécifique pour les mères au diagnostic mais aussi à plus long terme. Selon les études, les parents et les enfants diabétiques âgés entre 5 et 7 ans ont un niveau d'inquiétude plus accentué que pour les enfants plus grands.

- **L'impact du diabète d'un enfant sur la structure familiale affecte principalement l'emploi des mères.** Ces dernières diminuent leur temps de travail voire interrompent leur activité professionnelle notamment pour les enfants les plus jeunes au diagnostic (moins de 6 ans).

- **Nous avons également pu montrer au travers de notre enquête, les conséquences du DT1 de l'enfant sur la vie familiale avec entre autres :**

Vie professionnelle

-47% des répondants expriment un impact du diabète sur leur vie professionnelle, dont :

-6,8% avec un arrêt permanent de leur activité

-11,3% avec un arrêt temporaire de leur activité

-28,9% avec une diminution de leur activité

Garde des enfants en bas âge :

Parmi les 432 familles concernées : 41% ont rencontré des difficultés pour la garde de l'enfant :

-Principalement lors des gardes chez des assistantes maternelles (38%),

-Pour la garde à domicile (25%)

-Pour les crèches collectives (18%)

•L'analyse des retours des familles vers l'AJD montre que :

-L'hypoglycémie sévère est un moment anxiogène. De plus, l'hypoglycémie crée tensions, conflits et reproches. On accuse le conjoint ou toute personne qui était avec l'enfant au moment de la crise : *"tu n'as pas vu, tu n'as pas fait ce qu'il fallait"*.

-Les parents expriment aussi un « *profond sentiment d'impuissance* » et « *un grand stress* »

-Après l'hypoglycémie et la gestion de l'évènement (l'enfant va bien), les parents ressentent de la culpabilité de ne pas avoir anticipé, de ne pas l'avoir empêché et de s'être laissé submerger par le stress

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 ?

Le traitement de l'hypoglycémie sévère repose exclusivement sur l'injection intra-musculaire du GlucaGen®.

Le GlucaGen® est commercialisé sous la forme d'un kit, composé d'une poudre et d'un solvant à reconstituer par l'utilisateur.

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

Il revient ainsi à l'utilisateur (potentiellement un parent, une assistante maternelle, une infirmière scolaire...) de suivre un certain nombre d'étapes avant de pouvoir faire l'injection intramusculaire. La survenue d'une hypoglycémie sévère, est souvent associée à une perte de connaissance et potentiellement des convulsions.

Ces symptômes sont particulièrement impressionnants et génèrent une inquiétude, un stress chez la personne qui se retrouve devant une telle situation.

Le stress engendré peut être un frein à la préparation du produit et à l'injection intramusculaire, augmentant le temps de prise en charge, et donc potentiellement faisant perdre des chances au patient concerné.

Les gestes techniques nécessaires pour préparer et administrer ce produit constituent également un frein pour l'accueil des enfants/adolescents dans le milieu scolaire. Expliquer au retour après diagnostic les étapes de mise en œuvre de la gestion d'une hypoglycémie sévère avec le Glugagen@ KIT entraîne des craintes chez le personnel qui accueille l'enfant.

Dans une enquête réalisée en 2015 auprès des parents d'enfants DT1 (1037 répondants) sur la scolarité de leur enfant, 19% faisaient état de difficultés sur la conduite à tenir en cas d'hypoglycémie. Pour certaines familles il est exprimé explicitement que l'injection du glucagon par un adulte du milieu scolaire s'est avérée être un vrai problème et une source d'angoisse

Dans une enquête qualitative auprès du personnel de l'Education Nationale, il ressort les ressentis suivants :

- la peur de mal faire
- l'appréhension
- la méconnaissance, malgré la signature d'un plan d'accueil individualisé

Ses avantages : efficacité de gestion de l'hypoglycémie sévère, avec des effets indésirables maîtrisés (nausées)

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

Les attentes des patients et de leur famille pour le traitement de l'hypoglycémie sévère chez le patient DT1

Disposer d'un traitement :

- efficace (gestion de l'hypoglycémie sévère)
- ayant des effets secondaires limités (non supérieurs à ceux existant avec le traitement actuel Glucagen@)
- facile d'utilisation : ne nécessitant pas de phase de reconstitution, si possible ne nécessitant pas d'injection qui est un frein à l'utilisation (autre modalité d'administration que par une injection)
- facile à expliquer : l'étape de présentation du traitement doit rassurer, permettre aux futurs utilisateurs de se projeter dans sa mise en œuvre
- ayant des modalités de conservation adaptée (pas de nécessité d'être conservée au froid par exemple) pour que cela ne soit pas un frein à son utilisation en milieu scolaire, de loisir...

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?

Le Baqsimi® a été utilisé dans nos établissements de santé SSR pédiatrique durant l'été 2020, après autorisation de l'ANSM.

Les retours des soignants utilisateurs :

- une formation (qui était obligatoire) nécessaire, rapide et parfaitement adaptée.
- une utilisation du traitement facile, limitant le stress rencontré devant une situation d'hypoglycémie sévère

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

-un traitement efficace : retour à une glycémie normale rapidement avec effets secondaires limités (nausées).

Le Baqsimi® a été présenté à des parents de jeunes DT1

Leur retour a été très positif et leur attente est grande. Ils expriment la facilité d'utilisation, l'absence de reconstitution et le sentiment que cela sera beaucoup plus facile de le présenter à la famille, aux amis, au milieu scolaire, permettant ainsi à l'enfant une plus grande autonomie et liberté (aller dormir chez les maïs, vacances chez les grands-parents...).

Le Baqsimi® a été présenté à des enfants/adolescents DT1.

Leur retour était plus mitigé, du fait du mode d'administration par voie nasale. Le patient qui est traité pour une hypoglycémie sévère est inconscient, il n'a pas l'expérience de cette gestion sur lui-même, avec donc un intérêt moindre sur les évolutions du traitement.

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 ?

Un projet avait été initié dans les établissements de santé de l'AJD en 1990, étude coordonnée par l'équipe du Pr Gérard Slama (Hôtel-Dieu, Paris).

La conclusion de cette étude était la suivante (Rapport du 24 avril 1991):

« Dans cette étude multicentrique portant sur 20 enfants diabétiques insulino-dépendants où 13 sujets ont été traités avec du GLUCAGON nasal et 7 avec du GLUCAGON injectable lors de malaise hyglycémique sévère, il n'existe pas de différence significative entre les deux groupes pour l'efficacité. La tolérance est bonne que ce soit la voie d'administration du GLUCAGON »

Intranasal glucagon for hypoglycaemia. Slama G, Freychet L, Desplanque N. Lancet. 1988 Oct 1;2(8614):799. doi: 10.1016/s0140-6736(88)92453-1.

Les études plus récentes portées à notre connaissance vont dans le même sens avec un délai d'effet moyen du glucagon intranasal un peu inférieur au délai du glucagon intramusculaire, mais qui ne tient pas compte du gain de temps lié à l'utilisation (reconstitution du Glucagen® KIT) et de l'impact sur la qualité de vie.

5. Information supplémentaire

6. Synthèse de votre contribution

Compte tenu des modalités de sa prise en charge, le DT1 est une maladie chronique qui a un impact indiscutable, psychologique, scolaire et social, sur la vie du patient, celle de sa famille et de son entourage proche.

Le DT1 comprend 2 types de complications : les décompensations aiguës, menaçantes à court terme et les complications chroniques à moyen et long terme.

Parmi les complications à court terme, l'hypoglycémie sévère associée à des troubles de la conscience (perte de connaissance, convulsions, coma) a un impact très significatif sur la qualité de vie (angoisse de la récurrence et maintien inadapté de la glycémie à un niveau plus élevé pour échapper à ce risque). Au-delà des conséquences possibles sur le développement neurologique, l'hypoglycémie sévère induit des angoisses très importantes chez les parents, les aidants et les acteurs en charge des jeunes DT1 (milieu scolaire en particulier).

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

Le traitement d'une hypoglycémie sévère se fait aujourd'hui exclusivement par le Glucagen® KIT, un traitement efficace mais complexe à utiliser de part sa préparation (reconstitution) et son mode d'administration (injection intra-musculaire). Ces modalités peuvent être un frein à son utilisation : de nombreux parents expriment une crainte à son utilisation et ne pas avoir utilisé le Glucagen® KIT devant l'hypoglycémie sévère de leur enfant.

Le glucagon nasal a montré son efficacité (dès les années 1990) et les études récentes sur le Baqsimi® renforcent ces résultats : efficacité et effets secondaires comparables au traitement actuel. L'intérêt le plus notable du Baqsimi® mis en évidence par les soignants (retour d'expériences des SSR pédiatriques AJD – été 2020), et les patients au travers de leurs témoignages, porte sur les modalités d'administration du « Glucagon ». L'administration du glucagon par voie nasale réduirait considérablement les freins à la prise en charge de l'hypoglycémie sévère, dans des situations d'urgence et de stress liées à la situation clinique. Avec pour objectif final l'amélioration de la prise en charge des patients DT1 dans tous leurs milieux de vie (familial, scolaire, professionnel...) et de la qualité de vie des patients mais aussi de leurs familles et de l'entourage.

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 71 18.

Volet administratif

1. Informations générales sur l'association

Nom de l'association : **L'Aide aux Jeunes Diabétiques (AJD)**

Adresse postale : **38 rue Eugène Oudiné – 75013 PARIS**

Objet social : **Aider les enfants ayant un diabète et leur famille à mieux vivre le diabète**

Principales activités :

- Défense des intérêts des patients et famille de patients**
- Défense et mise en œuvre d'une harmonisation de la prise en charge sur le territoire**
- Education via l'édition de dossiers pédagogiques (recommandations et bonnes pratiques de prise en charge)**
- Accompagnement psycho-social, médiation auprès des acteurs intervenant dans la vie des enfants (école, mairie, sport...), lutte contre l'isolement via les associations de familles locales**
- Information sur la maladie, les avancées sociales, médicales et scientifiques**
- Communication vers le grand public (amélioration du diagnostic, lutte contre les idées reçues)**
- Education via 20 000 journées d'hospitalisations en SSR pédiatrique temporaire (programme ETP)**

Décrivez vos adhérents : nombre, autres éléments de description ...

-**2700 adhérents à jour de leur cotisation**

-**14600 sympathisants (réseau actif)**

Les adhérents sont principalement des parents d'enfant DT1, mais aussi des adultes DT1

-**200 services hospitaliers adhérents**

Les adhérents soignants travaillent dans des services de pédiatrie/diabétologie

-**45 associations de familles locales réparties sur tout le territoire**

Type d'association :

Association de patients agréée au niveau national (année et renouvellement)

Association de patients agréée au niveau régional (année et renouvellement)

Association de patients non-agrée

Pour les associations non agréées, décrivez la composition des instances (conseil d'administration et bureau) : noms des personnes, titres.

Président M le Dr Marc De Kerdanet	Pédiatre - CHU Rennes
Secrétaire général Mme le Dr Anne-Marie Bertrand	Pédiatre - CHU Besançon
Vice-Présidente Mme le Dr Claire Le Tallec	Pédiatre - CHU Toulouse

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

Vice-Président M le Pr Michel POLAK	Pédiatre - Hôpital Necker - Paris
Vice-Présidente Mme Cécile BERTHELIN MONTILLET	Parent d'enfant DT1 - AdF Diab'Attitudes 44
Trésorier M le Dr Michel CAHANE	Diabétologue
Autre membre du bureau Mme Marie CHOUPIN	Jeune Adulte DT1
Mme Karine ARNAL	Parent d'enfant DT1-Association de Famille Los DIDdrolles 12
Mme Delphine BAGARRY	Députée des Alpes de Haute-Provence
M le Pr Pascal BARAT	Pédiatre - CHU Bordeaux
Mme le Dr Elise BISMUTH	Pédiatre - Hôpital Robert Debré - Paris
Mme le Dr Clara BOUCHE	Diabétologue - Hôpital Lariboisière - Paris
Mme Valérie BROC	Diététicienne - CHU Robert Debré - Paris
M le Pr Régis COUTANT	Pédiatre - CHU Angers
Mme Alice HANAUER	Parent d'enfant DT1-AdF ENT RED
Mme Bénédicte KAKOU	Infirmière - Hôpital Robert Debré - Paris
Mme le Dr Claire LEVY MARCHAL	Pédiatre - INSERM - Paris
Mr Arnaud MALHOUITRE	Parent d'enfant DT1-AdF Normandie
M Yassine OUKASSI	Jeune Adulte DT1
Mme Martine SAMPER	Infirmière - Val Prévert
M le Dr Gilbert SIMONIN	Pédiatre - CHU Marseille
M le Dr Emmanuel SONNET	Diabétologue - CHU Brest
Mme le Dr Anne SPITERI	Pédiatre - CHU Grenoble
Mme le Dr Jeanne-Marie URCUN	Ex-Médecin conseil de l'éducation nationale

Personne contact pour les contributions : **Carine Choleau**

Fonction : **Directrice de l'association**

Email : **Carine.choleau@ajd-educ.org**

Téléphone : **01 44 16 89 87 / 06 87 05 62 59**

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

2. Informations sur le financement et les autres liens d'intérêt

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (entreprises, institutions, fondations, ...) à l'origine d'un financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), pour l'année en cours et l'année passée.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

Année	Organisation	Montant	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2019	ABBOTT	16 000,00	0%
2019	BECTON DICKINSON	14 350,00	0%
2019	DINNO	15 100,00	0%
2019	HOMEPERF	6 798,07	0%
2019	ISIS DIABETE	7 209,01	0%
2019	LILLY	46 826,00	1%
2019	MEDTRONIC	42 589,00	1%
2019	MENARINI	500,00	0%
2019	NOVO	10 000,00	0%
2019	ORKYN	4 150,00	0%
2019	ROCHE	36 500,00	1%
2019	SANOFI	20 630,00	1%
Total 2019		246 770,06	6,5%

Budget total de l'association pour l'année passée :

Budget de l'AJD 2019 : 3 776 711 €

Les comptes annuels 2020 ne sont pas finalisés

Budget total de l'association pour l'année en cours :

Budget de l'AJD 2020 : 3 891 264 €

Les comptes annuels 2020 ne sont pas finalisés

Pensez-vous nécessaire de porter à la connaissance de la HAS d'autres liens qui pourraient constituer un conflit d'intérêt ?

Pas d'autres liens à communiquer

Date : **18/01/2021**