

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 : xromi

Indication(s) du médicament concernées :

La substance active de Xromi est l'hydroxycarbamide : Xromi est disponible sous la forme d'un liquide à avaler contenant de l'hydroxycarbamide 100 mg/mL, et le dosage est fonction du poids corporel du patient

Nom et adresse de l'association :

FÉDÉRATION FMDT SOS GLOBI : Chu Henri Mondor-laboratoire de biochimie
51 avenue du maréchal de Lattre de Tassigny, 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).

Groupe de travail constitué début décembre,
3 associations fédérées :

- SOS GLOBI 94
- SOS GLOBI PACA
- SOS GLOBI Nouvelle-Aquitaine
- /

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

Les 4 personnes citées ci-dessus.

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

NON

2. Impact de la maladie / état de santé

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

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 drépanocytose est avant tout, la maladie de la douleur. La crise douloureuse osseuse, de survenue imprévisible et souvent déclenchée par le froid, la déshydratation, l'altitude, les efforts, les infections ou le stress notamment. Cependant tous les organes peuvent être concernés par privation d'oxygène, entraînant un suivi et des soins adaptés et empiriques.

Les Crises Vaso-Occlusive, CVO, sont à l'origine d'hospitalisations parfois itératives retentissant considérablement sur la vie quotidienne, scolaire, professionnelle et affective. Une CVO conduit bien souvent le patient inexorablement vers une hospitalisation, afin de le réhydrater, ou même transfuser la personne. L'anémie hémolytique provoque une importante asthénie difficile à gérer pour les patients. Parfois, sans signes avant-coureurs, l'hémoglobine peut chuter. L'une des complications de la CVO, est le syndrome thoracique aiguë (STA). Mais il existe aussi des complications des articulations (ostéonécroses) invalidantes.

L'asthénie provoque des difficultés respiratoires (dyspnées), rendant plus long l'activité de la personne (il lui faut plus de temps pour effectuer les mêmes tâches qu'une personne Lambda)

Chez les hommes, la crise peut aussi engendrer un priapisme, et donc des difficultés pour des rapports sexuels épanouis.

La douleur, la fatigue, entraînent un stress et des troubles anxio-dépressif, pouvant impacter la vie familiale. Le caractère inopiné des CVO est générateur d'une grande angoisse liée notamment à l'incertitude de l'avenir proche, empêchant de mener à bien des projets professionnels, immobiliers, affectifs, personnels (permis de conduire, etc.) au-delà du retentissement effectif des hospitalisations prolongées. La Drépanocytose, c'est en plus d'une fatigue chronique, des crises douloureuses aiguës qui surviennent la plupart du temps de façon soudaine et inopinée obligeant le patient à se rendre aux urgences lorsqu'il n'arrive pas à se calmer par lui-même avec les antalgiques à sa disposition.

De ce fait, la qualité de vie du patient drépanocytaire est indéniablement impactée par ces hospitalisations surtout que chez certaines personnes cela peut représenter plus d'une dizaine d'hospitalisations par an !

Une hospitalisation, c'est le cours de la vie en suspens, son arrêt brutal et sans préavis.

Ces hospitalisations sont d'autant plus impactantes selon la situation familiale, professionnelle et sociale de la personne.

En effet, en tant que parent(s) malades, il faut organiser la garde de(s) enfants lorsque ces derniers sont encore à un jeune âge. Bien des drépanocytaires ont perdu leur emploi à cause de ces crises répétées. Une hospitalisation peut aussi entraîner des complications financières graves selon la prise en charge dont dispose la personne (maintien ou non du salaire, carence de 3 jours, niveau de couverture par la mutuelle si l'individu en dispose, paiement du forfait journalier...)

Pour résumer, les crises vaso-occlusives et les complications dues à la drépanocytose sont celles qui posent le plus de difficultés aux personnes atteintes de cette maladie.

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

- Sur le point émotionnel, la maladie entraîne du stress pour le proche, la famille, l'aidant ; (peur de mal faire..., appréhension de l'hospitalisation voire même du décès du malade.
- Action, sur les relations sexuelles : fatigue chronique (perte de libido), peur de la crise après l'effort.
- Troubles sexuels liés au priapisme pour certains.
- Difficultés à maintenir une cohésion de la vie de famille (couchers de bonne heure, levers tardifs, fatigue, donc pas l'envie de faire !
- Difficultés à maintenir une activité professionnelle liées à la fatigue chronique.
- Difficultés à maintenir les liens sociaux (le malade ne peut pas suivre le rythme)
- Perte de son confort financier (précarité, isolement)

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

-
- Culpabilisation des parents,
- Abandons d'un des deux parents, souvent la mère se retrouve seule à élever son enfant malade
- Perte de l'emploi, pour retard ou absence, dus à l'hospitalisation de l'enfant
- Difficultés à se projeter dans l'avenir, d'élaborer des projets, même à court terme (vivre avec une épée de Damoclès au dessus de sa tête)
- Peur de la mort, de l'infirmité
- Peur d'avoir des enfants malades, peur de ne pas avoir sa propre famille

Solitude amoureuse.

Pour la famille et les proches, la vie est souvent rythmée par cette maladie et les hospitalisations. Elles avouent une impuissance face à ces douleurs atroces qui touchent leur proche. La vie de toute la famille est bouleversée, organisée autour de la maladie, des rythmes d'hospitalisation, des médicaments à prendre.

Pour les personnes en couple, le la partenaire doit souvent se retrouver à gérer souvent seul(e) le foyer et les enfants.

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 ?

- **Echanges transfusionnels** (permettent d'augmenter le taux de l'hémoglobine, et donc d'éviter les crises vaso-occlusives, (CVO)

Les échanges transfusionnels permettent d'avoir un confort de vie et de limiter les crises douloureuses du fait de l'apport de globule rouge et de l'élimination de l'hémoglobine S. Ils sont souvent proposés aux patients concernés par de nombreuses hospitalisations ou ayant des complications extrêmement graves à cause de la pathologie

Efficacité : permet au patient de récupérer au niveau fatigue, et ainsi de lui apporter un confort de vie dans tous les aspects, réduction de la fréquence des crises.

- o Effets indésirables, et inconvénients : le malade doit poser des jours de congés (hospitalisation de jour), peut entraîner des chutes de tension, des nécroses des veines, pose d'une chambre implantaire pour certains. La répétition des transfusions provoque une hémochromatose chez tous les patients (maladie iatrogène)
- En plus des effets indésirables cités plus hauts, il faut des donneurs compatibles et présentant les mêmes caractéristiques ethniques. Depuis quelques années la société française du sang tire la sonnette d'alarme sur le manque de sang et la baisse des dons.
- **Prise d'hydroxycarbamide**, ce traitement anti CVO permet également l'augmentation du taux de l'hémoglobine fœtal, c'est un traitement de fond dont la prise per os diminue les hospitalisations. ; la forme liquide facilite la prise par les enfants.
Efficacité : Bonne tolérance en générale, espère les hospitalisations, réduction de la fréquence des crises. Prévention du syndrome thoracique aiguë. Agit sur l'intensité de la douleur, meilleur qualité de vie. Réponse différente d'un individu à l'autre.
Inconvénient et effets indésirables : L'Arrêt de la prise d'hydroxycarbamide pour d'autres traitements ou en cas de projet de procréation (oligospermie). Déconseillé en cas de grossesse, surveillance hépatorénale.
- **Greffe de moelle osseuse** :
 - o Efficacité : guérison totale du malade.

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

- Inconvénients : le malade doit avoir une compatibilité totale avec un membre de sa famille. Lourds traitements anti-rejets.
- Le malade ne doit pas avoir d'organes trop détériorés.
- La vaccination
- **Les bilans annuels** (radio-écho-irm des différents viscères permettent de contrôler l'évolution de la maladie)
- Les consultations régulières dans un centre de référence ou de compétence permettent une meilleure appréhension des éventuelles complications.
- Des séances de kinésithérapie permettent une meilleure mobilité des articulations.
- L'éducation thérapeutique patients, permet au patient d'avoir une meilleure connaissance de sa maladie.

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

- un meilleur confort de vie (ne plus souffrir, pouvoir suivre des études, exercer le métier qui nous convient, avoir une vie sociale épanouie, pouvoir exercer l'activité physique qui nous plaît, pouvoir voyager sans contraintes, mener une vie de famille classique)
- une guérison, (ne plus porter de fardeau, avoir une vie normale, ne plus côtoyer le corps médical)

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?

Aucun patient n'a eu ce médicament en ATU

Xromi ayant le même principe actif que le Siklos, nous avons l'expérience du Siklos

En terme de :

- **De facilité d'usage ou d'observance :**

Administré sous forme liquide, facilite la prise en pédiatrie. Le médicament est fourni avec deux seringues à usage oral pour mesurer la dose, une petite de couleur rouge pour mesurer les doses jusqu'à 300 mg (3 mL de liquide), et une grande de couleur blanche à utiliser pour les doses plus importantes.

- **D'efficacité, qualité de vie :**

l'hydroxycarbamide réduisait substantiellement le risque d'obstructions aiguës et douloureuses de l'alimentation sanguine (dénommées crises vaso-occlusives), réduit les risques d'AVC. Diminue les hospitalisations.

Sous forme de sirop, ce médicament serait plus facilement accepté par les enfants.

La réduction des hospitalisations a un impact immédiat sur la qualité de vie du patient. Moins fatigué, le patient peut faire plus d'activité. La prise de l'hydroxycarbamide améliore de façon indéniable la qualité de vie du patient

- **D'effets indésirables :**

Dégradation de la moelle osseuse (capacité réduite de production des cellules sanguines) et la baisse de la fécondité chez les hommes en raison de l'oligospermie (faible nombre de spermatozoïdes) ou de l'azoospermie (absence de spermatozoïdes). Il ne doit pas non plus être utilisé pendant la grossesse et l'allaitement doit être interrompu pendant le traitement.

- **D'impact financier :**

Haute Autorité de Santé, septembre 2017.

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

Pas d'impact financier, en tous cas en France et dans d'autres pays d'Europe puisque que prise en charge par la sécurité sociale

-

- D'impact sur l'entourage :

Risque d'infertilité en raison de l'oligospermie.

- D'impact sur la vie professionnelle et sociale

L'amélioration de la qualité de vie par la diminution de la survenue des crises vaso occlusives graves, la diminution de la fatigabilité permet au patient drépanocytaire de mieux s'épanouir tant au niveau professionnelle que social et familial.

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 ?

	<i>Conséquences positives</i>	<i>Conséquences négatives</i>
<i>Facilité d'usage ou observance</i>	<i>Présentation adaptée chez les petits poids</i>	<i>Se conserve au frais ce qui peut constituer un obstacle à l'observance</i>
<i>Efficacité</i>	<i>Aucun de plus que Siklos</i>	<i>Aucun de plus que Siklos</i>
<i>Qualité de vie</i>	<i>Identique Siklos</i>	<i>Identique Siklos</i>
<i>Effets indésirables</i>	<i>Aucun</i>	<i>Les mêmes que ceux de Siklos</i>
<i>Impact financier</i>	<i>pas de connaissance du prix</i>	<i>pas de connaissance du prix</i>
<i>Impact sur l'entourage</i>	<i>Pour les petits poids ne prenant pas du Siklos dispersible dans l'eau cela peut être utile</i>	
<i>Impact sur la vie professionnelle et sociale</i>	<i>Identique Siklos</i>	<i>Identique Siklos</i>

	<i>ATTENTES</i>	<i>LIMITES</i>
<i>Indication</i>	<i>Pas d'attente car similaire à Siklos Une meilleure observance ?</i>	<i>Couvre la même indication que Siklos</i>
<i>Présentation</i>	<i>Aucune</i>	<i>Sirop à stocker au frais,</i>
<i>Gout</i>	<i>Agréable</i>	<i>RAS</i>
<i>Efficacité</i>	<i>Identique Siklos</i>	<i>rien de plus que le Siklos</i>
<i>Dosage</i>	<i>Aucune</i>	<i>Le dosage de 100mg/mL peut augmenter le risque mésusage</i>
<i>Pipette</i>		<i>La présence de deux pipettes dans a boîte peut augmenter le risque d'erreur</i>
<i>Stockage</i>	<i>Aucune</i>	<i>Le stockage à froid constitue un obstacle à l'observance, on peut très vite l'oublier. Risques de rupture du froid pour les patients voyageurs ?</i>

5. Information supplémentaire

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

La substance active de Xromi, l'hydroxycarbamide, bloque la croissance et la reproduction de certaines cellules, telles que les cellules sanguines.

Il peut réduire le nombre de cellules anormales qui circulent dans le sang et peut également empêcher les globules rouges de changer de forme chez les patients atteints de drépanocytose

- Les données que nous avons sur ce médicament sont celles glanées sur internet. Xromi a le même principe actif que le Siklos
- Xromi ne vient pas répondre à une demande majeure de nos patients
- Le siklos 100mg sécable étant dispersible dans l'eau, il peut répondre à la problématique des enfants ayant du mal à avaler les comprimés.
- La chaine du froid qu'exige Xromi peut être problématique pour nos patients en cas de déplacement.
- En tant qu'association de patients nous avons besoin des médicaments nouveaux et efficaces pour une meilleure prise en charge médicale de la drépanocytose.
- Nous sommes davantage intéressés par des produits apportant un réel progrès thérapeutique dans la prise en charge de la drépanocytose.
- Les preuves et l'efficacité de l'Hydroxyurée / hydroxycarbamide utilisés depuis très longtemps dans la drépanocytose, ont été largement démontrées.

6. Synthèse de votre contribution

- **Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont :**

Les douleurs dues à des crises vaso-occlusives et les complications liées (AVC, ostéonécrose, syndrome thoracique aigue). La fatigue chronique liée à une hémolyse de l'hémoglobine.

- **Les thérapeutiques actuelles sont adéquates parce que :**

Elles permettent au malade de faire moins d'épisodes de CVO, d'être moins hospitalisé, d'éviter les complications liées à la maladie (AVC, ostéonécroses, STA).

- **Le médicament répond (~~peu~~) aux besoins et attentes des jeunes patients parce que :**

Par son aspect liquide, il facilite les prises par les plus jeunes ou les personnes ayant des difficultés de déglutition.

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.