

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 : Isturisa

Indication(s) du médicament concernées : Traitement du syndrome de Cushing endogène chez l'adulte

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 : Association Surrénales 9 A rue Charles Poisot 21300 Chenôve

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire
--

Indiquer la méthode utilisée pour remplir le questionnaire et notamment la nature des informations mobilisées :

Nous avons sollicité notre responsable entité Syndrome et Maladie de Cushing qui est à l'écoute de nos adhérents concernés par ces pathologies et donc est le point central de toutes les remontées de nos adhérents sur ce point. Notre cohorte d'adhérents concernés par ces pathologies est de 178 personnes.

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

Notre responsable entité Syndrome et Maladie de Cushing ainsi que l'ancienne présidente de 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 ?

Dans cette maladie, il y a une errance diagnostique de plusieurs années, car les symptômes pris individuellement sont fréquents dans la population générale : obésité, hypertension artérielle.... Au fur et à mesure que les années passent sans diagnostic, l'excès de cortisol peut provoquer les effets suivants :

- problèmes de peau (allergies, sécheresse, affinement, fragilité),
- déséquilibre des défenses immunitaires (allongement de guérison pour toutes infections même bénignes),
- fonte musculaire, douleurs articulaires et tendineuses,
- irrégularité des règles voire absence,
- difficulté ou impossibilité de mener une grossesse,
- fragilité des vaisseaux (embolie, bleus, phlébite),
- problèmes digestifs,
- œdème important,
- diminution du champ visuel.

C'est une maladie rare avec un handicap invisible. La méconnaissance de la maladie par des personnes examinant les dossiers de demande d'ALD et/ou de handicap conduit à des problèmes de reconnaissance au niveau psychosocial :

- reconnaissance de l'ALD est variable d'un Centre à l'autre,
- refus de reconnaissance dans certains départements pour le handicap,
- difficultés dans le domaine professionnel pour avoir des postes adaptés.

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

A cause de l'errance diagnostique sans traitement, le corps se transforme et les symptômes suivants peuvent affecter la vie familiale et sociale :

- effets émotionnels/psychologiques,
- fatigue,
- stress,
- dépression,
- difficultés physiques,
- équilibre familial,
- relations intimes,
- vie sexuelle.

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 syndrome de Cushing regroupe l'ensemble des manifestations cliniques induites par une exposition chronique à un excès endogène de glucocorticoïdes. Les principales causes :

- cause hypophysaire : un adénome sur l'hypophyse produit trop d'ACTH,
- cause ectopique : un adénome qui peut être situé dans une autre partie du corps produit trop d'ACTH : poumon, foie, pancréas...),
- cause surrénalienne : un adénome produit trop de cortisol,
- hyperplasie macro nodulaire des surrénales : de nombreux adénomes produisent trop de cortisol.

La chirurgie est la thérapeutique de 1^{ère} intention, surrénalienne pour le syndrome de Cushing et hypophysaire pour la maladie de Cushing.

Lorsqu'il y a échec de la chirurgie hypophysaire, il existe plusieurs thérapeutiques médicamenteuses.

Il n'y a pas une thérapeutique plus adaptée qu'une autre. C'est très variable suivant les malades. Le temps pour trouver la thérapeutique qui convient le mieux au patient peut être long. Cela peut dépendre de l'errance diagnostique et de l'âge du patient.

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

- éviter l'ablation des deux surrénales en maîtrisant la production du cortisol pour ne pas créer une maladie qui n'existait pas ;
- éviter les traitements à effets secondaires importants, comme ceux existants ;
- bien évaluer la balance bénéfices/risques ;
- éviter les traitements trop lourds ;
- améliorer la qualité de vie.

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?

Nous n'avons pas de retour d'expérience sur l'utilisation de ce médicament par nos adhérents.

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 ?

Les attentes concernent la normalisation du cortisol, avec peu d'effets secondaires et la bonne tolérance du patient.

L'association suit les avancées de l'étude sur l'osilodrostat depuis l'AMM européenne du 15 octobre 2014. Elle a assisté à une communication lors du congrès de la Société Française d'Endocrinologie à Bordeaux en 2016.

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

Un article a été mis dans notre newsletter à destination des adhérents en octobre 2018 faisant état d'une communication faite à l'ENDO 2017 à Orlando.

5. Information supplémentaire

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

6. Synthèse de votre contribution

Le plus gros problème du syndrome et de la maladie de Cushing est l'errance diagnostique. Une fois le diagnostic établi, le retour à la « normale » est très difficile à atteindre puisque le corps a subi pendant des années des taux de cortisol très élevés, jusqu'à 10 fois la normale.

Une fois le diagnostic posé, les patients sont en attente d'un traitement efficace pour réguler leur taux de cortisol sans effet secondaire important et qui pourrait leur permettre de retrouver une meilleure qualité de vie.

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.