

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 : Doptelet

Indication(s) du médicament concernées : PTI primaire chronique des patients adultes.

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 : O'CYTO

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire
--

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

Les informations relatées dans ce questionnaire sont le fruit du travail de notre association depuis 2014. L'association O'Cyto a acquis une expérience importante sur le fardeau que représente cette maladie grâce au travail effectué auprès de ses adhérents mais aussi de patients croisés au cours des différentes actions menées (journées patients, weekend familles, réunions thématiques...). Le contact régulier avec les médecins référents qui suivent cette pathologie au sein des différents centres de références et de compétences apporte également une connaissance des difficultés rencontrées avec les traitements existants.

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?
L'ensemble du bureau de l'association et quelques patients référents qui témoignent régulièrement sur les difficultés rencontrées dans leur vie au quotidien.

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 ?

Nous sommes dans le cadre d'une maladie chronique qui va le plus souvent accompagner le patient tout au long de sa vie.

La première difficulté réside dans l'errance de diagnostic ou le patient doit souvent rester dans l'incertitude jusqu'à ce que le diagnostic définitif soit posé.

Puis viendront les différents traitements à tester pour trouver enfin le moins mauvais.

Cette période peut être longue et parfois handicapante avec des poussées de PTI qui entraînent de l'inconfort avec des signes hémorragiques et de grosses fatigues.

La vie du patient se trouve donc chamboulée avec l'arrêt parfois brutal de pratiques sportives nécessaires à l'équilibre du patient dans sa vie « d'avant ».

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

L'Impact social est également important et peut dans bon nombre de cas mettre en difficulté les patients qui doivent vivre avec cette maladie qui peut leur faire perdre confiance.

Les hospitalisations fréquentes, les perturbations permanentes de la vie quotidienne viennent également rompre parfois l'équilibre au sein de la famille.

Pour les femmes vient se poser le problème des saignements abondants lors de la période des règles et la question du doute concernant la possibilité de mettre des enfants au monde.

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 ?

Nous n'avons pas forcément d'avis sur les différentes approches thérapeutiques au sein de notre association.

Chaque cas doit être traité comme un cas unique.

Le patient ne souhaite pas que le soignant connaisse la maladie mais bien SA maladie, son histoire avec cette maladie.

Les traitements les plus adaptés sont ceux qui sont les moins envahissants pour les patients qui vont alors bien les tolérer. Cela peut aller jusqu'à l'abstinence totale thérapeutique.

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

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

Les patients sont toujours à l'écoute des nouveautés en matière de traitement.

Ils souhaitent que la recherche leur amène toujours des évolutions qui leur permettront de mieux vivre leur maladie au quotidien.

Ils ont le sentiment que plus le choix de solutions thérapeutiques s'élargit et plus ils auront de chances de trouver celle qui leur convient le mieux.

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?

A notre connaissance aucun patient adhérent n'a reçu ce médicament.

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 ?

Pas d'avis sur cette question.

5. Information supplémentaire

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

6. Synthèse de votre contribution

Les progrès de la recherche médicale sont aujourd'hui une source d'espoir pour les patients touchés par cette maladie chronique.

La perspective de pouvoir bénéficier de nouveaux traitements moins contraignants et tout aussi, voir encore plus efficaces les aide à avancer dans leur épreuve.

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

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.