

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 : Cablivi Indication(s) du médicament concernées : Traitement du Purpura thrombotique thrombocytopénique acquis en phase aigue

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 Adamts 13
1 Allée des Martinets
42450 SURY LE COMTAL

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).

- Recueil de 5 témoignages auprès des 4 adhérentes volontaires atteintes de PTT (a) ainsi que l'expérience de la Vice-présidente en tant que personne atteinte de PTT(a). Les 5 profils sont différents :

	Sexe	Age actuel	En Activité pro	Commentaire activité pro	Nbre de crises	Traitement avec Cablivi
1	F	43 ans	NON	Invalidité cat 2	4	NON
2	F	59 ans	NON	Invalidité cat 2	1	NON
3	F	25 ans	OUI	En arrêt maladie	1	OUI
4	F	33 ans	OUI	Plein temps	1	NON
5	F	48 ans	OUI	80% invalidité cat.1	1	OUI

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?
Sandra Da Silva – Vice-Présidente de l'Association Adamts13

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 ?

Etat général quotidien :

- Fatigue chronique qui débouche pour certains à une incapacité de travail. Cette fatigue peut être vraiment invalidante et est le plus dur à gérer dans la maladie au quotidien.
- Douleurs articulaires,
- Prise de poids liée aux traitements notamment à la corticothérapie,
- Impact sur la santé mentale - Suivi psychologique parfois nécessaire et coûteux
- Stress post traumatique lié à la peur ressentie pendant les 15 jours où on se trouve en urgence vitale en service de réanimation,
- Hypervigilance les premières années et lorsque la protéine Adamts13 atteint des niveaux bas (marqueur qui prédit la rechute)
- Troubles de la mémoire qui peuvent être source de difficultés au quotidien mais aussi professionnellement pour les personnes qui continuent de travailler,
- Troubles du sommeil qui accroissent la sensation de fatigue,
- Forte angoisse de la rechute (accrue en période de prélèvement ou de baisse de la protéine) : impression d'avoir une épée de Damoclès au-dessus de la tête

Autres impacts sur la santé :

- Survenues d'autres pathologies auto-immunes,
- On repense très souvent à ce qu'on a vécu et particulièrement aux jours/semaines passées en service de réanimation,
- Pour les personnes pour qui le Rituximab n'a pas fonctionné, médicaments à prendre tous les jours
- Beaucoup de contrôles, de prises de sang,
- Fatigue accrue par des déplacements en hôpital parfois éloigné du domicile (Seulement certains hôpitaux accueillent un Centre de Compétences)
- Lassitude par rapport à l'éternelle variation de la protéine Adamts 13

Impact sur la vie au quotidien :

- Nécessité de se reposer sur le conjoint ou tierce personne pour soulager certaines tâches du quotidien,
- Nombreux RDV médicaux (accroît la fatigue et accroît la difficulté à concilier santé et travail)
- Pour les personnes pour qui le Rituximab n'a pas fonctionné, les médicaments à prendre tous les jours rappellent qu'on est malade

Impact social :

- La maladie étant invisible, elle est peu comprise dans le milieu professionnel et également par l'entourage,
- Impact sur l'évolution professionnelle,

Impact moral :

- Difficile d'accepter la maladie et d'accepter qu'elle ne puisse pas être guérie, d'autant plus si on est jeune,
- Déception quand le traitement n'agit pas comme prévu,
- Fatigue morale,

Impact familial :

- Pour les femmes, rend la grossesse plus difficile et fragile,
- Impact sur le couple,
- Impact sur les projets immobiliers (démarches pour trouver des assurances plus lourdes, débouchant régulièrement sur des rejets ou au mieux des surprimes importantes).

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

- Impact financier :

- pour les personnes en invalidité,
- lorsque l'on cherche à améliorer notre qualité de vie au quotidien, beaucoup de pratiques ne sont pas encore remboursées.
- assurances prêts immobiliers sont plus chères.

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

- Nécessité de se reposer sur le conjoint ou une personne de l'entourage pour soulager certaines tâches du quotidien,
- Impact sur la qualité de vie de l'entourage : hypervigilance, marqués par le caractère brutal de la maladie, peur de la rechute,
- Difficultés à comprendre la maladie, déni,
- Difficulté pour les autres à comprendre que notre apparence ne reflète pas notre ressenti (maladie invisible)

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 ?

Traitement en crise aigüe :

Corticothérapie + échanges plasmatiques + Rituximab : 4 semaines d'hospitalisation

Corticothérapie pendant 6 à 10 mois prise quotidienne par voie orale,
Echanges plasmatiques pendant 3 à 4 semaines en hospitalisation en Service de réanimation puis en Service d'hématologie ou médecine interne,
Rituximab : 4 injections sur 4 semaines, démarrage en Service de réanimation puis en Service d'hématologie ou médecine interne,

Traitement efficace qui permet une rémission dans une majorité des cas au bout de 4 semaines.

Effets indésirables :

- Rituximab : démangeaisons, urticaire, (supportable grâce aux antihistaminiques et corticoïdes)
- Cortisone : prise de poids, impact sur la santé mentale (supportable au début des traitements et de plus en plus difficile à la longue surtout après plusieurs crises ayant nécessité une nouvelle corticothérapie)

Inconvénients :

- Commence à faire effet au bout de 15 jours : taux de décès important environ 20% et conséquences sur les organes (hémorragies) et troubles neurologiques,
- Charge de soins lourde (EP quotidiens, Rituximab avec effets secondaires désagréables mais supportables grâce aux Corticoides)
- Stress post traumatique lié à la prise en charge en réanimation et la prise de conscience de notre état.

Traitement en préventif :

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

Depuis quelques années, avec un suivi très rapproché du taux de la protéine Adamts13, il est possible d'anticiper la rechute avec un traitement de Rituximab lorsque la protéine est <30 % voire indétectable.

Le cas échéant, une seule injection de Rituximab peut être réalisée et renouvelée si besoin en hospitalisation.

Traitement préventif efficace pour éviter des rechutes aiguës et donc éviter la souffrance des organes et un passage en réanimation et hospitalisation.

Effets indésirables :

- Rituximab : démangeaisons, urticaire, (supportable grâce aux antihistaminiques et corticoïdes pendant l'injection)
- Douleurs articulaires pouvant survenir 10 à 15 jours après très difficiles à supporter

L'usage du Rituximab est une source d'inquiétudes pour les patients concernant les risques et les effets à long terme.

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

Les attentes des patients sont, dans la crise aiguë, de réduire la charge des soins, le temps passé en réanimation, la souffrance des organes et de réduire le taux de décès.

Un diagnostic rapide.

Anticiper les crises.

Stabiliser la maladie.

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?

- 2 personnes sur le 5 qui ont témoigné ont bénéficié d'un traitement avec le Cablivi :
Réduction du temps en réanimation (1 nuit au lieu d'une vingtaine),
Réduction du temps global passé en hôpital : 10 jours au lieu d'une trentaine
Traitement peut être poursuivi au domicile, rapide à préparer pour l'infirmier,
Quasiment indolore,
Pas eu de gros effets indésirables

- Points "négatifs" plutôt vécus comme des contraintes acceptables

- Piqûres à heure fixe par un professionnel (les infirmières ont proposé à la patiente d'être autonome sur mais celle-ci a jugé qu'il y avait trop de mélange et ne se sentait pas de le faire seule)
- Ne pas briser la chaîne du froid (transport en glacière et conservation au frigo)
- Pas pu aller au bout du traitement (saignement des ongles, gencives...) a dû arrêter une semaine avant la fin par précaution
- Devoir retourner à l'hôpital 1 fois par semaine pour récupérer les doses de Cablivi
- Hypervigilance due aux risques hémorragiques
- Pas d'impact financier : traitement très onéreux mais pris complètement en charge par la sécurité sociale

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

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 ?

- Pour les patients qui n'ont pas encore eu à prendre ce traitement, nous y voyons une véritable avancée.

Savoir qu'en cas de crise aigue le Cablivi réduit le temps passé en reanimation, le taux de mortalité et la charge des soins, permet de moins appréhender les rechutes.

5. Information supplémentaire

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

6. Synthèse de votre contribution

La qualité de vie au quotidien est largement impactée par la maladie : fatigue chronique, douleurs articulaires, santé mentale impactée, vie professionnelle, familiale et sociale impactées.

Les crises aigues sont très difficiles physiquement et moralement à supporter car la charge de soins et de traitement est lourde et longue, l'état d'urgence vitale est long et le taux de décès encore élevé (autour des 20%).

La thérapeutique actuelle est efficace dans un grand pourcentage des cas mais insuffisante car le délai à partir duquel commence à agir le traitement est long >15 jours. C'est dans ces 15 jours que les décès ont souvent lieu et que les conséquences hémorragiques ou neurologiques surviennent.

Le Cablivi agit précisément sur cette période sensible des 15 premiers jours augmentant le taux de plaquettes et ayant ainsi comme bénéfices de réduire le temps total d'hospitalisation, de réduire la charge des soins et réduire le taux de décès. Ceci permet un vécu de la maladie et de la crise moins traumatisant.

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.