

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 : <ORDELAYO> <Prévention des crises d'angio œdèmes>

Nom et adresse de l'association :

AMSAO (asso loi 1901 reconnue d'intérêt général), 31 rue de Chateaufort, 91400 ORSAY

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Les informations recueillies pour remplir ce questionnaire sont issues essentiellement de retours des milieux médicaux , notamment ceux ayant participés aux essais thérapeutiques (CHU de Grenoble, CHU St Antoine Paris,...), ainsi que les témoignages patients recueillis lors des réunion régulières, organisées par le CREAK ou l'association, depuis de nombreuses années

L'association ne bénéficie d'aucune aide ou subvention des industries pharmaceutiques . Les ressources de l'association correspondent strictement aux cotisations et dons de ses membres. ainsi que des dédommagements en provenance de cabinets de consultants qui réalisent des enquêtes patients avec l'aide de l'association.

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 ?

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

Maladie héréditaire provoquant des œdèmes, survenant de façon imprévisible, dont certains sont très douloureux et invalidant (œdèmes intestinaux), voire mortels (œdèmes sphère ORL sans traitement de la crise).

Il existe une très grande variabilité suivant les patients, et au cours de la vie des patients, sur la gravité et la fréquence des crises :

Ces crises étant ,pour la plupart d'entre elles, imprévisibles, cela crée un sentiment d'angoisse chez les patients, notamment vis à vis du risque de la survenue de crise invalidantes (abdominales) ou mortelles (gorge, sphère ORL), l'œdème pouvant conduire à asphyxie en l'absence de traitement); Ces crises non traitées conduisent à des absences récurrentes dans le milieu professionnel ou pendant la scolarité.

-Une survenue régulière de ces crises sans traitements peut conduire à une déscolarisation, une perte d'emploi, un isolement social, un état dépressif.

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

Impossibilité de scolarité lors de crises sévères sans traitement, problématique de garde d'enfants, isolement de l'enfant, restriction d'activité (loisirs, vacances,...) , si pas d'autonomie pour les traitements.

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 ?

Acide tranexamique: inefficace chez la plupart des patients

Danazol: stéroïde anabolisant, effets secondaires significatifs, surtout chez les femmes, dépendant de la dose et du temps de traitement. Peut être satisfaisant chez les hommes équilibrés avec des doses faibles à modérées.

Lutéran/Lutényl: progestatif réservé aux femmes, efficacité variable suivant patientes. Effets secondaires: quelques cas de méningiomes identifiés.

Concentré de C1 inhibiteur, Berinert (CSL Behring) Cinryse (Takéda) , ou Ruconest (recombinant de Pharming): efficace , nécessite des injections en IV, peu de patients autonomes, notamment ceux ayant de mauvaises veines. Nécessite souvent une tierce personne ou urgences médicales pour injection.

Takhzyro: nouveau médicament (anticorps monoclonal), efficacité remarquable, la plupart des patients extrêmement satisfait, injection sous cutanée, la plupart des patients retrouvent une vie « normale » en « oubliant » la maladie , mais médicament vraiment cher.....donc réservé aujourd'hui aux cas les plus graves. Rares effets secondaires identifiés: céphalées,...

Firazyr: efficace pour le traitement de crise (injection sous cutanée) mais de nombreux patients présentent un effet rebond, nécessitant d'autres injections, et en conséquence évite de le prendre

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

Plusieurs de ces médicaments ont eu des ruptures de stock récurrentes au cours des 4 dernières années, nécessitant des changements de traitements contraints: Bérinert et Cinryse (médicaments dérivés du plasma) Danatrol, Acide tranexamique (Exacyl ou Spotof)

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

*Amélioration de l'autonomie du patient facilité d'administration) , avec un traitement efficace et des effets secondaires limités,
la réaction des patients aux médicaments (efficacité, effets secondaires,...) pour chaque traitement peut être individuelle, soulignant la nécessité de disposer de plusieurs options thérapeutiques .*

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?

*Médicament de prise orale, donc grande facilité d'administration
Efficacité légèrement moindre que Takhzyro chez les quelques patients rencontrés.
Effet indésirables (gêne intestinale) s'estompant après quelques jours de traitement
Prix non connu à ce jour, mais la multiplicité de l'offre devrait contribuer à limiter les prix des nouveaux traitements, ainsi que d'aider à résoudre les problèmes récurrents de rupture de stock.*

5. Information supplémentaire

Comme dans de nombreuses maladies rares, chaque patient réagit de manière individuelle aux traitements, et la multiplicité des traitements contribue à trouver le traitement le mieux adapté pour chacun.

Le traitement de choix aujourd'hui, le TAKHZYRO, est prescrit à un nombre limité de patients (cas les plus graves ou mauvaise réponse aux autres traitements) à cause de son coût. L'arrivée d'autres traitements efficaces devrait contribuer à faire baisser les coûts, et donc à rendre ces traitements de prophylaxie accessibles au plus grand nombre.

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

6. Synthèse de votre contribution

Listez les points les plus importants de votre contribution. Ils sont susceptibles d'être rappelés oralement lors de la séance de la commission.

Ce nouveau traitement préventif des crises d'agrio oedèmes présente une facilité d'administration, et devrait permettre d'améliorer l'autonomie du patient et sa qualité de vie en diminuant significativement le nombre de crises. La multiplicité de ces nouveaux traitements devrait permettre de limiter les couts des traitements, et par voie de conséquence d'être accessible à un plus grand nombre de patients, ainsi que de limiter les conséquences vis à vis des risques de rupture de stock.

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.