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

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 : ROACTEMRA (rizankizumab)

Indication(s) du médicament concernées : Extension d'indication, dans le traitement de la COVID-19 chez les patients adultes hospitalisés qui reçoivent des corticoïdes systémiques et qui nécessitent une oxygénothérapie ou une ventilation mécanique.

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 : France Vascularites 7 rue de l'église 21540 BLAISY-BAS

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Veille téléphonique, mail et réseaux sociaux.

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

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 ?

Par exemple :

- Symptômes les plus importants à contrôler : par exemple difficultés respiratoires ou motrices, douleur, fatigue, incontinence, anxiété

- Impact fonctionnel : incapacité/difficulté à effectuer certaines activités,

- Impact social/relationnel : perte de capacité au travail/à l'école, perte de confiance, difficultés relationnelles, impact sur la santé mentale, impact financier, sur l'évolution professionnelle

- Nécessité d'une aide pour la vie quotidienne

- Equilibre familial

- Relation intime, troubles sexuels

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

Par exemple :
- Effets émotionnels/ psychologiques, fatigue, stress, dépression, difficultés physiques
- Equilibre familial
- Relation intime, 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 ?

Par thérapeutique, il faut entendre toute forme d'intervention (utilisation d'un médicament, dispositif médical, rééducation, suivi psychologique, prises en charge hospitalières, médecine alternative ou complémentaire,… etc). Si aucune thérapeutique n'est disponible, ceci doit être mentionné.
Si l'indication du médicament concerne une phase particulière de la maladie, les enjeux décrits devront en tenir compte.

Par exemple, lister les principales thérapeutiques utilisées et décrire leur impact en termes :

- *d'administration/de prise du traitement (fréquence/rythme, traitement à domicile/à l'hôpital, facilité d'accès, actions spécifique du patient ou de l'entourage), de consultations, d'examens*

complémentaires (bilan et surveillance biologique, radiologique), de prise en charge associée (kinésithérapie, psychiatrie)

- *d'efficacité sur le contrôle ou la réduction des aspects les plus difficiles de la maladie*
- *d'effets indésirables en précisant ceux les plus difficiles à tolérer et ceux acceptables*
- *de répercussion sur la vie quotidienne : impact scolaire/ professionnel, impact physique, impact financier, impact sur l'entourage.*

Préoccupations sur l'usage à long terme de la thérapeutique existante

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

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?

Par exemple, en termes :

De facilité d'usage ou d'observance
D'efficacité, qualité de vie
D'effets indésirables
D'impact financier
D'impact sur l'entourage
D'impact sur la vie professionnelle et sociale

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 ?

5. Information supplémentaire

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

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.

-Attention à ne pas créer à nouveau un flux tendu de disponibilité de Roactemra pour les patients porteurs d'une vascularite (artérite à cellules géantes, maladie de Takayasu) qui reçoivent déjà ce traitement et qui est vital pour eux.
Des recommandations sur l'approvisionnement minimum requis pour les patients déjà sous traitement devraient être émises.
Par ailleurs, nous avons constaté une recrudescence inquiétante des contres façons de cette molécule qui circulent sur internet.

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.