

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 : *DARZALEX Daratumumab*

Indication du médicament concernée :
*Traitement des patients adultes atteints
d'amylose systémique à chaînes légères (AL)
nouvellement diagnostiquée*

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 FRANCAISE CONTRE L'AMYLOSE

66, rue Saint Jacques
13006 MARSEILLE

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire
--

Nous avons utilisé :

- les données collectées à travers tous les appels et échanges avec les patients depuis l'origine de l'association – : plus de 1200 appels traités depuis 1994
- les avis recueillis sur la messagerie de notre page FaceBook ouverte en 2014 (1703 abonnés à ce jour)
- les témoignages recueillis auprès de nos partenaires dans l'Amyloidosis Alliance – alliance internationale créée en juin 2018 sous présidence française – soit 20 associations de patients de 20 pays différents et 4 continents
- les témoignages personnels d'un administrateur de l'association touché par l'amylose AL, d'un administrateur aidant et de 5 bénévoles concernés.
- les propos des médecins (centre de référence et centres de compétence) lors de nos différentes journées annuelles, réunions, congrès et contacts
- les témoignages collectés par l'association internationale (Amyloidosis Alliance : alliance d'associations de patients) à l'occasion de la première journée mondiale de l'amylose (26 octobre 2021)

Haute Autorité de Santé, septembre 2017.

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

- l'enquête « Etude de la qualité de vie des personnes atteintes d'une amylose AL » ; enquête en cours menée par le centre de référence de l'amylose AL - centre de référence à 2 sites service d'hématologie du CHU de Limoges et service de néphrologie du CHU de Poitiers, coordonnée par une chercheuse en sciences humaines et sociales sous la du Pr Jaccard co-coordonnateur du Centre de Référence.
- l'enquête « Impact de l'amylose au quotidien », enquête quantitative commandée par l'Association au cabinet Emma – enquête qui a reçu 603 réponses dont 170 de patients avec amylose AL - et qui établit des résultats globaux et par forme d'amylose.

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

Le directeur et les administrateurs et bénévoles patients et aidant.

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures et quelle est leur nature ?

Pas d'aide extérieure liée à cette contribution.

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 ?

Avant même le diagnostic ; la qualité de vie des patients se trouve altérée par les premiers symptômes et l'angoisse associée à **une errance diagnostique qui dure en moyenne 13,5 mois** pour les amyloses AL.

« Il a fallu me battre pour qu'enfin on me détecte une amylose AL et pendant ce temps le mal empirait. »

La maladie étant le plus souvent multisystémique, les symptômes sont très divers mais tous très difficiles à vivre au quotidien.

SYMPTOMES	VIE DU PATIENT	VERBATIM
Essoufflement	Gestion de l'effort, impact sur toutes les activités même les plus simples	<i>« j'arrive à courir 5/10 m voilà ça va quoi, pas plus. C'est clair que je ne fais plus ce que je faisais avant. C'est la vie au ralenti pendant un sacré temps. »</i> <i>« ça arrive tout doucement, pas brutalement : vous pouvez monter les escaliers comme il faut et puis un jour vous ne pouvez plus du tout »</i>

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

Fatigue extrême	Limitation des activités et adaptation du rythme avec des plages de repos = impacts sur la vie professionnelle et familiale	« j'ai repris le travail mais déjà j'ai un horaire allégé et malgré cela il y a des jours où je rentre chez moi, je dors. .. on a pas d'énergie... » « je ne sortais plus car j'étais fatiguée, à chaque fois je disais aux gens : je n'en peux plus, suis fatiguée »
Troubles rénaux, œdèmes, prise de poids	Limitation sociale	« parce que ce qui me fait le plus peur c'est d'arriver en dialyse, la dialyse pour moi ce serait catastrophique, la dialyse cela voudrait dire que je suis cantonnée »
Fourmillements évoluant vers des paresthésies	Maladresses et limitation des activités à gestes fins.	« je commence à avoir des neuropathies périphériques, des douleurs dans les mains et dans les pieds, je suis complètement handicapée et je ne peux plus marcher, ça me fait souffrir énormément »
Vertiges orthostatiques	Lenteur : précautions indispensables pour changer de position Chutes pouvant entraîner des fractures...	« le problème ce sont les pertes d'équilibre... je ne tiens plus debout, je tombe et je n'arrive pas à me relever... »
Douleurs	Mal être pouvant engendrer de l'irritabilité ou de l'agressivité voire des envies suicidaires	« vous avez l'impression que vos mains brûlent, qu'elles sont en feu » « des sensations de brûlure dans les jambes, qui m'empêchaient de dormir, j'en pleurais la nuit parce que c'était vraiment hyper violent comme douleur »
Amaigrissement	Gestion des repas très complexe	j'avais perdu plus de 15kg, et je n'ai pas tout repris, aujourd'hui j'en pèse 70, je mesure 1m70 et je pèse 70kg, c'était très difficile de s'alimenter, envie de rien, très écoeuré par tout,
Alternance diarrhées, constipation	Impact sur la vie sociale, isolement	« j'ai des diarrhées telles que j'ai perdu 30 kgs, ma vessie est atteinte, mon estomac ne se vide plus normalement, j'ai beaucoup de reflux, mon, œsophage se contacte tout seul, »
Problèmes de rythme cardiaque, insuffisance cardiaque	Limitation de tout effort Mise en jeu du pronostic vital	« il faut que je prenne mon souffle avant de sortir pour pouvoir marcher... »

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

Impuissance pour les hommes, perte de sensibilité pour les femmes	Impacts sur l'intimité et la vie affective	<i>« Pas de possibilité physique, vous voyez ce que je veux dire et puis pas de plaisir. » « Il y a une incidence forte sur la libido. ... C'est quand même une partie importante de la vie »</i>
---	--	---

Dès le début de la maladie les limitations de toutes natures s'installent : gestion de l'effort, de la fatigue et de l'alimentation, accès aux toilettes, Cela nécessite dans un premier temps des aménagements au travail (poste de travail, horaires..) et de la vie sociale

Les patients perdent peu à peu leur autonomie.

Souvent arrive l'impossibilité totale de travailler.

Tout projet de vie devient impossible.

Les **difficultés financières** sont fréquentes.

Après une période d'errance diagnostique et une annonce très durement vécues, face à ce contexte global extrêmement sombre, à une dégradation de toutes les fonctions vitales qui ne permet à aucun moment d'oublier sa maladie et au désespoir face à des traitements lourds aux effets secondaires difficiles, **l'équilibre psychologique du patient est fortement affecté**, les dépressions ne sont pas rares ...

« Seule l'acceptation de votre sort vous permettra de vivre avec cette menace. Or, l'absence de rébellion requiert force et énergie. Cette force, je l'ai d'abord trouvée grâce à l'aide chimique des antidépresseurs »

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

Face à une maladie rare, totalement méconnue, le poids psychologique et émotionnel est décuplé pour les plus proches qui n'ont aucun repère, aucune connaissance de la maladie, de ce qui attend le patient...

La maladie s'inscrit dans la durée.

Face à une charge affective et matérielle lourde pour accompagner des patients, les aidants s'épuisent tant physiquement que moralement.

La vie des conjoints est, évidemment, totalement bouleversée sur tous les plans : familial, affectif, sexuel, souvent aussi professionnel et matériel du fait des difficultés financières.

« Il a des empêchements, il faut vivre avec... vivre avec ce qui reste... »

Certains font le choix de s'arrêter de travailler pour accompagner le patient et se retrouvent seuls et sans ressource s'il décède

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 ?

Il existe plusieurs protocoles de chimiothérapies qui sont adaptés au fur et à mesure des résultats des examens après quelques semaines ou mois de traitement.

Ils entraînent tous des effets secondaires difficiles.

Haute Autorité de Santé, septembre 2017.

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

Ils stoppent l'évolution de la maladie mais les dépôts existants dans les tissus doivent ensuite être éliminés par l'organisme. Selon l'organe et la personne, le début de l'amélioration de l'état général est parfois long à venir.

Les examens montrent que la réponse obtenue au traitement est bonne mais le malade ne ressent pas d'amélioration.

Face à ces traitements difficiles à tolérer et dont l'effet n'est pas immédiatement perceptible, il n'est pas rare de voir des patients abandonner le traitement ou reporter le démarrage d'une nouvelle phase.

Certains patients ne répondent à aucun des protocoles et sont engagés vers une autogreffe de moelle. Cette proposition est source d'une très intense angoisse

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

Il n'existe pas, à ce jour, de protocole standard, efficace pour tous.

L'adaptation souvent nécessaire (ajout d'une autre molécule...) consomme un temps précieux pendant lequel la maladie évolue.

De plus les modifications de traitements brouillent la perception du patient et altèrent sa confiance. Certains patients ne réagissent à aucun des protocoles actuellement utilisés.

Lorsque les atteintes sont très importantes et que les traitements ont bien fonctionné, la maladie étant stoppée, pour améliorer la qualité de vie il est nécessaire de recourir à une transplantation rénale ou une double transplantation rein/cœur. Ces solutions sont lourdes pour l'avenir des patients qui s'inscrivent ensuite dans les traitements anti rejets etc...

Il y a un vrai besoin de nouvelle thérapeutique donnant des résultats rapides et plus uniformément probants pour une grande majorité de patients.

"je suis dans une urgence de vie... pour l'instant mon seul souci c'est qu'il y ait quelque chose qui arrive sur le marché ou qui arrive dans ma vie qui fasse que mon état ne se dégrade plus, s'améliore et que j'aille mieux."

Ils sont ensuite en attente d'un médicament qui permettrait d'améliorer leur état (dissolution des dépôts).

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?

Sans objet : nouveau médicament pour cette indication, connaissance seulement des essais cliniques et du vécu de patients inclus

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 ?

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

Nous avons connaissance des résultats de l'essai randomisé Andromeda qui montre en comparaison avec le bras sans daratumumab un bénéfice clinique évident avec 2 fois plus d'amélioration des atteintes cardiaques (probable effet majeur sur l'espérance de vie) et rénales avec un effet extrêmement bénéfique sur la qualité de vie pendant le traitement : les effets secondaires sont plus limités, le traitement est plus facile à tolérer que les protocoles actuels. Le résultat recherché (baisse des chaînes légères) est obtenu très rapidement, ce qui évite une poursuite de l'évolution de la maladie en début de traitement, avec surtout beaucoup plus de réponses complètes, ce qui est fondamental pour obtenir une amélioration des atteintes d'organes et est associé avec une bien meilleure espérance de vie.

Nous avons aussi connaissance de nombreuses publications sur le daratumumab en monothérapie qui s'accompagne également d'excellentes réponses chez des patients réfractaires aux autres traitements avec très peu d'effets secondaires.

Ce médicament est une chance supplémentaire pour les patients qui doivent impérativement y avoir accès.

5. Information supplémentaire

Le caractère multi-systémique de l'amylose AL impose une prise en charge multidisciplinaire qui conduit à des consultations et examens incessants dans des services parfois éloignés du domicile ce qui fatigue le patient et représente un poids psychologique supplémentaire.

Du fait de la rareté de cette maladie, en sus de tout le fardeau de la maladie et de ses différents impacts, le patient et son aidant se heurtent à toutes sortes de difficultés liées à la méconnaissance de la pathologie par l'ensemble du contexte : prise en charge des petites affections par le généraliste, accompagnement paramédical, démarches pour prise en charge sociale.

6. Synthèse de votre contribution

Cette maladie est grave, invalidante, hétérogène, multi-systémique, mortelle sans traitement.

Elle peut impacter tous les organes et tous les aspects de la vie.

Elle ne laisse aucun repos.

Au fardeau de la maladie, s'ajoutent des difficultés de tous ordres : familiales, affectives, psychologiques, professionnelles, sociales, matérielles.

Les conséquences sur toute la famille et spécifiquement les aidants sont très importants.

Les médicaments actuels ne sont pas efficaces dans tous les cas.

Daratumumab est attendu par les patients avec un immense espoir.

Il est une chance nouvelle dont ils demandent à disposer sans restriction au plus vite.