

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

Évaluation de : VERQUVO (Vericiguat)

VERQUVO vériciguat	Remboursement - Inscription	Verquvo est indiqué dans le traitement de l'insuffisance cardiaque chronique symptomatique chez les patients adultes à fraction d'éjection réduite stabilisés après une décompensation récente ayant nécessité un traitement I.V.	18/12/21
-----------------------	--------------------------------	---	----------

AVEC (Association Vie Et Cœur)

<https://www.avec-france.com>

AVEC est, avec SIC et ASPIC, l'une des 3 associations françaises spécifiquement dédiées à l'Insuffisance Cardiaque (IC).

Coopérant ensemble régulièrement sur différents projets, avec une vision commune sur l'IC et sa prise en charge actuelle, nous avons décidé de produire une contribution commune.

La HAS a donc reçu un email de chacun d'entre nous mais avec un texte identique.

Noms et adresses des 3 associations à l'origine de cette contribution :

- **AVEC**
Association Vie Et Cœur
5, rue Paul Fort 86530 Naintré France
Président Steven Macari
- **ASPIC**
ASsociation pour les Patients Insuffisants Cardiaques
22 Grand'Rue 31350 Thil
Président Jean Léonard
- **SIC**
Association pour le Soutien à l'Insuffisance Cardiaque
8 bis rue de Musselburgh 94500 Champigny sur Marne
Président : Philippe Muller

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

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Pour remplir ce questionnaire, nous nous sommes reposés tout d'abord sur nos expériences en tant que représentants des patients et sur les échanges réguliers que nous avons avec les membres de nos associations.

De plus, nous avons entamé, en juillet 2021, un cycle de groupes de discussion avec des patients insuffisants cardiaques membres de nos associations.

Un 1^{er} groupe s'était réuni en juillet 2021 et un second en novembre 2021.

Chacun des 2 groupes était composé de 4 patients (4 hommes en juillet et 4 femmes en novembre) dont 7 ont été hospitalisés au moins une fois au cours de leur maladie :

- 4 hommes avec un âge moyen de 57 ans (de 52 à 61 ans)
- 4 femmes avec un âge moyen de 51 ans (de 34 à 64 ans)
- 2 enfants en moyenne par patient
- Une date moyenne de diagnostic de l'IC en 2018 (2010 à 2021)

L'objectif était pour nous, représentants de patients, de mieux comprendre :

- Les conditions du diagnostic de l'IC ; la connaissance et le repérage des symptômes ;
- La prise en charge hospitalière des décompensations ;
- L'accompagnement à la sortie de l'hôpital ;
- Les traitements prescrits et le ressenti des patients ;
- L'impact sur la vie des patients et leur entourage ;
- Les moyens d'éviter la ré hospitalisation.

Une partie des résultats de ces travaux nous semblent adaptés pour nourrir la contribution proposée par la HAS.

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

- Les responsables des 3 associations
- Des membres de nos associations
- Les patients participant aux groupes de discussion

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

Nous nous référons aussi pour cette contribution à des informations reçues, sous forme de webinaires notamment, de la part de médecins, cardiologues, proches de nos associations ou encore de travaux menés dans différents cadres sur l'IC et son impact sur la qualité de vie.

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 ?

Au-delà de nos propres expériences et du regard de l'association, nous nous référerons régulièrement aux témoignages des patients des groupes de discussion. Nous le préciserons quand ce sera le cas.

L'impact fonctionnel est lourd. Les patients pour lesquels il sera avéré qu'ils ont décompensé, ne peuvent plus vivre « normalement », ni faire d'exercice physique. Certains ne dorment plus dans des conditions habituelles à cause de la sensation d'étouffement. A l'inverse, certains sont tellement fatigués qu'ils dorment la plupart du temps.

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

L'impact sur le travail :

Parmi les patients des groupes de discussion :

- 1 patiente a perdu son travail du fait de son IC, sans aménagement de poste.
- 3 patients ont repris le travail une fois diagnostiqués et pris en charge.
- 1 patient est en invalidité mais parvient désormais à s'impliquer activement dans le monde associatif.

Un patient indique qu'il a le sentiment d'un lien direct entre le stress professionnel et l'apparition ou l'aggravation de ses symptômes.

Une fois le diagnostic posé et la prise en charge organisée, la reprise du travail semble possible mais seulement dans les cas où un accompagnement ou un suivi par la médecine du travail (cité par un patient) est mis en place.

L'impact psychologique :

Les patients sont marqués par **la gravité et l'irréversibilité de leur situation**. Celle-ci est parfois très mal vécue.

D'une manière générale, les patients s'accordent à dire qu'il y a « **un avant** » et « **un après** » **la sortie de l'hôpital**. Cette période s'accompagne d'une phase d'adaptation assez angoissante et de la remise en question de leur capacité à être autonome et à reprendre une vie « normale ».

Verbatim du groupe de discussion :

- « J'ai encore beaucoup de phases de rumination encore. J'arrive à être serein dans ma tête quand j'oublie que je suis malade. [...] Rien que de me replonger dans les comptes rendus de sortie d'hôpital, ça me fait froid dans le dos ».
- « Moi je ne savais pas du tout quel allait être mon parcours [après la sortie de l'hôpital] et je me suis senti handicapé. Je pensais que je ne pourrais plus faire ci ou ça, j'ai commencé un dossier d'handicapé... »
- « J'ai été très très inquiet quand ils m'ont débranché de l'appareil. C'est-à-dire quand ils ont commencé à me débrancher en me disant « vous allez rentrer chez vous », je me suis senti un peu en panique. »

L'incapacité à pouvoir se projeter dans l'avenir est aussi un sujet d'inquiétude pour les patients.

Verbatim du groupe de discussion :

- « Là où j'ai des difficultés c'est que j'ai du mal à me projeter à cinq, dix ans. [...] Il y a un travail d'acceptation qui n'est pas encore fait »
- « J'attends des solutions sur l'avenir. Je me dis est-ce que dans 10 ou 15 ans je serai là ? »

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

L'équilibre familial est souvent très impacté par l'IC.

Il nous faut distinguer l'avant et l'après diagnostic :

En amont du diagnostic, la plupart des patients évoquent la peur, l'inquiétude. L'entourage voit bien que quelque chose ne va pas mais à ce stade le patient est « **seul** » face à ses symptômes, d'autant plus lorsque les patients sont diagnostiqués tardivement.

- Une fois le diagnostic posé, les réactions des proches sont exprimées clairement :

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

- **Par la peur**, les conjoints de plusieurs patients vivent très mal la période à partir du diagnostic et souffrent d'insomnie de peur que leur conjoint décède subitement.
- Puis **l'incrédulité**, puisqu'en apparence le patient va mieux et que **la maladie ne se voit pas**. Pour certains proches, le sujet est même parfois tabou.

Ce dernier point est fondamental. Nous constatons, au long cours, une sous-estimation de la sévérité de cette maladie car elle est « invisible ». Quasiment tous les patients que nous rencontrons disent souffrir de cela, en plus du fait que l'IC n'est pas connue et rarement nommée. C'est un paradoxe, pour une maladie qui toucherait plus de 1,5 millions de personnes.

Verbatim du groupe de discussion :

- « Je n'ai rien expliqué du tout à mes proches. C'est eux, après m'avoir vu à l'hôpital, qui m'ont demandé plusieurs fois si j'allais mourir donc j'ai tout de suite essayé d'être très rassurant. Puis à partir du moment où je suis sorti, j'essaie de leur dire que ce n'est pas fini. [...] Ils disent « ah bon, mais c'est toujours là... ? ». »
- « Mes deux fils, de 26 et 27 ans, ne sont pas rassurés du tout. C'est tabou, ils ne veulent pas en parler. Je leur ai dit que c'est héréditaire dans notre famille, et donc ils ont peur et sont dans le déni. [...] Quand je leur dis que je suis fatiguée, ils me répondent « tu prends un traitement, tu ne devrais pas être fatiguée »
- « Je ne dirais pas que ça entraîne des tensions, mais en ce qui concerne ma famille dans l'ensemble, pour eux « tout va très bien, il est réparé ».

Le fait que la maladie soit « invisible » complique la relation aux proches et provoque une forme de solitude.

Lors d'une récente réunion en présence d'un cardiologue impliqué dans des études cliniques, ce dernier a expliqué que 30% des insuffisants cardiaques seraient soignés pour **dépression**.

Nos associations ont également eu l'occasion de participer récemment à une étude sur la Qualité de vie des patients IC dans plusieurs pays européens (notamment UK, Pays-Bas, France). Il en ressort que sur 580 patients, 66% évoquent une dépression.

Quant aux relations intimes /sexuelles, la question a été posée lors de nos groupes de discussion. Un patient, homme, a reconnu : « C'est vrai, on pourrait en parler. C'est catastrophique. Plus rien. Plus de libido, c'est éteint pour l'instant. Je ne sais pas si c'est à cause des médicaments, de la dépression... ».

Notre regard de représentants de patients est assez clair sur le sujet.

Les conséquences de l'IC sur les relations intimes sont dévastatrices. Les gens en parlent peu. Ils sont peu pris en charge sur ce sujet pourtant très impactant pour la qualité de vie.

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 ?

L'expérience du patient comprend bien sûr le volet traitements (au minimum dispositifs médicaux et médicaments) :

- La pose d'un **défibrillateur** est perçue comme un élément rassurant notamment pour alerter en cas d'accident.
- Le **traitement (médicaments)** est perçu par les patients comme leur principale protection contre une nouvelle décompensation.

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

On observe chez la plupart des patients une détermination à atteindre la dose maximale. La plupart disent établir **un lien direct entre la dose qu'ils supportent et le niveau de protection contre la maladie**.

Les patients du groupe de discussion se disent très **observants** et essayent de respecter les traitements prescrits par leurs médecins.

Certains culpabilisent de ne pas supporter la dose cible mais évoquent aussi :

- Une impossibilité à rester aux doses supérieures à cause d'effets indésirables,
- Une absence de choix ou d'autre solution
- Une inquiétude par rapport à ce qui se passera s'ils ne supportent plus leur médicament ou si celui-ci devient moins efficace avec le temps. Le fait que les patients soient rassurés dans le cadre de l'évolution de leur maladie est essentiel pour eux.
-

Verbatim du groupe de discussion :

- « Au début on m'avait mise directement à la dose moyenne. J'ai essayé la dose complète puis je suis revenue à la moitié. J'avais 7/8 de tension. Je ne supportais pas bien. Dans ces conditions, cela ne s'appelle pas vivre, c'est survivre. J'en avais discuté avec le cardiologue de la rééducation cardiaque. Je pleurais. On m'a mise sous Xanax. Je culpabilisais car je voulais tenir et y arriver. »
- « Il a fallu monter doucement. J'ai atteint la zone cible sur deux ans. Je me suis dit que j'allais tenter, dans la mesure où le seul moyen de me protéger était d'arriver en zone « cible »
- « *Le généraliste a constaté que je réagissais mal, mais qui m'a dit qu'il ne pouvait pas changer le traitement.* »

Il ressort que le patient, comme sans doute le médecin, disposent de faibles marges de manœuvre.

La prise en charge va aussi bien au-delà et les patients témoignent de **l'importance de la réadaptation cardiaque**. A l'unanimité de ceux qui en ont bénéficié, les patients disent que c'est lors de la réadaptation cardiaque qu'ils ont véritablement découvert ce qu'est l'insuffisance cardiaque et à quoi servent leurs traitements.

La réadaptation intervient souvent plusieurs mois après la sortie d'hôpital. Or, cette sortie d'hôpital est un moment très délicat pour beaucoup des patients qui viennent de traverser une période difficile. Cette période intermédiaire est cruciale.

Certains patients mettent également en place de **nouvelles « règles de vie »**, dont ils espèrent qu'elles leur éviteront une nouvelle décompensation (nutrition, exercice physique...). Ces mesures sont soit mises en œuvre avec les conseils de professionnels de soins proposés dans le parcours, soit de la propre initiative du patient s'il n'a pas la chance d'avoir un tel accompagnement.

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

Nous avons posé aux patients des groupes de discussion la question : « qu'attendez-vous de nouveaux traitements ? »

Ressortent, par ordre de fréquence, les réponses suivantes :

- « *Éviter la ré hospitalisation* »
- « *Empêcher une nouvelle décompensation* »
- « *Une stabilisation de l'insuffisance cardiaque* »
- « *Un choix de médicaments suffisants pour tenir compte de la situation de chaque patient* ».
- « *Une évolution* »
- « *Moins d'effets indésirables (tension, douleurs gastriques, fatigue...)* »
- « *Augmenter ma FEVG* »
- « *Réduire la nécrose* »

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

- « *Réparation musculaire* »
- « *La guérison* »

Beaucoup nous disent effectuer des recherches fréquentes sur internet sur les nouveautés. Tous les patients des groupes de travail se déclarent intéressés par de l'information sur les recherches cliniques, les évolutions thérapeutiques, l'évitement d'une nouvelle hospitalisation, le gain d'années de vie supplémentaires, au même titre que les apports en termes de qualité de vie.

Verbatim des groupes de discussion :

- « *On m'a dit qu'il y avait un arsenal thérapeutique et s'il y avait un médicament qui ne marchait pas, on pouvait basculer sur autre chose...* »
- « *C'est moi qui cherche et me renseigne sur les nouvelles thérapies. Par exemple c'est moi qui ai parlé d'un nouveau médicament à mon cardiologue. Il m'a répondu d'attendre. Je suis donc à la recherche de toutes les avancées. C'est porteur d'espoir.* »
- « *Et même si je dois être un cobaye sur de nouvelles molécules, je continuerai. C'est cela qui a permis que j'aie aujourd'hui des enfants et des petits-enfants. Je suis optimiste sur les évolutions des traitements et des prises en charge.* »

4. Expériences avec le médicament évalué

4.1 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 ?

Nous n'avons pas d'expérience directe avec Verquvo.

Nous en avons connaissance car des cardiologues viennent régulièrement nous présenter les études cliniques en cours ou terminées et les évolutions attendues.

La mise sur le marché de nouvelles molécules est porteuse d'espoir pour les patients chroniques. Sans répéter ce qui a été dit plus haut, les patients ont besoin de cet espoir que représente l'alternative, la possibilité d'un choix pour le médecin en fonction de chaque patient, car notre maladie est complexe et en interaction avec de nombreuses autres pathologies (diabète, insuffisance rénale, BPCO, etc.).

Un seul médicament ne saurait convenir à tous les insuffisants cardiaques.

Prévenir les ré hospitalisations, c'est aussi éviter une aggravation globale du patient. Or actuellement nous avons le sentiment, confirmé par l'homogénéité des prises en charges décrites par les patients ainsi que les groupes de parole de certaines de nos associations, que l'arsenal thérapeutique n'est pas large.

Enfin, les patients qui tolèrent mal leurs traitements actuellement pourraient trouver dans de nouvelles molécules un complément permettant de les placer sous protection maximale. Comme nous l'avons vu, les patients qui ont vécu le traumatisme de la décompensation sont observants et se disent prêts à suivre les conseils et prescriptions si cela leur donne une chance d'être, a minima, stabilisés dans leur IC.

6. Synthèse de votre contribution

Parmi les nombreux points évoqués par les patients :

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

- Un impact très lourd de la maladie sur le patient et son entourage, en particulier en cas de décompensation / hospitalisation.
- Un arsenal thérapeutique peu large, avec peu de marges de manœuvre.
- Les médicaments perçus par les patients comme leur principale protection contre une nouvelle décompensation qui s'accompagne de la peur et de la culpabilité à ne pas pouvoir respecter les prescriptions des médecins.
- La crainte de l'accoutumance aux traitements actuels, sur laquelle nous disposons de peu d'informations, face à un choix limité de médicaments. Nous nous sommes nous-même entendu dire par le médecin : « *nous n'avons pas grand-chose d'autre à vous proposer* ».

En conclusion :

Les insuffisants cardiaques présentent des risques importants de comorbidités (diabète, insuffisance rénale, etc.), ce qui renforce le risque d'intolérance ou d'aggravation de leur état, selon les médicaments utilisés au long cours.

Nous avons donc un intérêt vital à ce que les médecins disposent d'un choix plus large de médicaments.

Nous avons besoin de nouvelles pistes thérapeutiques pour une maladie aussi complexe que l'IC. Toute solution complémentaire qui peut permettre d'améliorer l'espérance de vie du patient, sa situation physique, sa qualité de vie ou d'éviter des ré hospitalisations doit être mise à sa disposition.

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.