

FICHE

Accès précoce aux médicaments

Questionnaire de recueil du point de vue des associations de patients et d'usagers du système de santé

8 juillet 2021

- Ce questionnaire est réservé aux associations et aux groupes d'usagers du système de santé. Les associations peuvent être agréées ou non.
- L'objectif de ce questionnaire est de recueillir le point de vue de ces associations et groupes concernant une demande d'autorisation d'accès précoce déposée par un laboratoire pour un médicament dans une indication spécifique. L'information du dépôt de cette dernière figure dans le tableau de la page « [Contribuer à l'évaluation d'un médicament](#) » sur le site de la HAS, ainsi que le motif du dépôt, l'indication précise et la date limite pour répondre.
- Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou appeler le service Engagement des usagers au 01 55 93 70 00.
- Ce questionnaire une fois rempli doit être adressé à la HAS : contact.contribution@has-sante.fr. Il est transmis aux membres de la Commission de la Transparence dans son intégralité et sera rendu public sur le site de la HAS (la partie « Informations complémentaires et liens d'intérêts » est publiée selon votre autorisation).
- Ce questionnaire est en cours d'expérimentation – Il pourra faire l'objet de modifications après une phase test de 10 dossiers.

1. Identité de l'association ou du groupe d'usagers du système de santé

Nom complet suivi du sigle*¹ : NMO France

Adresse du siège* : 209 Avenue Pierre Dourdant 38290 LA VERPILLIERE

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national, association agréée au niveau régional, association non agréée ; groupe de patients ou usagers du système de santé ; autre dénomination de structure

Nombre d'adhérents de l'association ou de participants au groupe : 44

¹ Les critères suivis d'un astérisque sont à remplir obligatoirement.

Audition souhaitée:

☒ Oui ☐ Non ;

Raison : C'est une maladie rare et l'Association est récente

2. Médicament et indication en vue de l'accès précoce

Nom commercial* : UPLIZNA

Dénomination commune internationale (DCI)* : Inebilizumab

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement des patients adultes atteints de maladie du spectre de la neuromyéélite optique (NMOSD) qui sont séropositifs pour les immunoglobulines G anti-aquaporine-4 (IgG anti-AQP4).

→ **Avez-vous un commentaire général à apporter sur la population ou l'indication demandée pour cet accès précoce ? Vous semble-t-elle pertinente ?**

La gravité des attaques et le caractère invalidant de ces attaques nécessitent d'avoir recours en urgence à des thérapies afin d'améliorer la qualité de vie et le pronostic vitale des malades. Depuis 2020, nous constatons une augmentation significative de cas liée très certainement au progrès de la recherche de diagnostics.

3. Impact de la maladie sur la personne concernée et ses proches

Il n'est pas utile de rappeler ce qu'est la maladie.

Décrivez ci-dessous les conséquences essentielles de la maladie sur la qualité de vie des personnes concernées ou de leurs proches et les traitements actuels lorsqu'ils existent.

Vous pouvez répondre partiellement aux rubriques concernées.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?**

- Argument 1 : L'impact est très important sur la qualité de vie du fait des nombreux troubles se développant à plus ou moins long terme. Ces troubles sont plus ou moins liés au nombre de poussées, à la gravité de chacune et à la rapidité de leur prise en charge.
- Argument 2 : Ces poussées s'accompagnent de :
 - Troubles moteurs : tétraplégie, paraplégie, paralysies partielles
 - Troubles sensitifs : le simple effleurement d'un vêtement sur la peau est douloureux
 - Troubles visuels : cécité subite, perte de la vision des couleurs, perte des contrastes, forte sensibilité à la lumière, douleurs oculaires, difficulté de

lecture, flou visuel, difficulté à dépasser les limites de son périmètre visuel connu, problème de vision la nuit, et la fatigabilité liée à la perte d'un œil. Les malades deviennent malvoyants, cela peut se dégrader jusqu'à la cécité définitive. Dans les maladies du spectre de la NMO, si certains patients récupèrent la vision, les attaques successives altérant le nerf optique (ex : MOG) la gestion médicale et médicamenteuse de ces poussées devraient permettre de limiter la dégradation de la vision. A condition d'avoir des traitements...

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

2. Impact de la maladie / état de santé Conséquences majeures sur la vie sociale : retrait du permis de conduire et besoin d'accompagnement pour accomplir les gestes de la vie quotidienne.

- Troubles vésico-sphinctériens : incontinence partielle ou complète et besoin impérieux d'uriner (sous 10 secondes). Infections urinaires à répétition. Nécessité de recours à des protections et couches non prises en charge par la Sécurité Sociale. Exemple de Gael, un patient NMO de 50 ans. Gael a repris le travail depuis peu, mais les lésions neurologiques provoquées par la dernière poussée ont affecté sa vessie, il a perdu sa capacité à la vider totalement. Conséquence: une réelle contrainte quotidienne avec les auto-sondages 8 fois par jour qui sont en plus douloureux. Il souffre aussi de brûlures mictionnelles, sans parler des risques d'atteintes rénales. Gael décrit également des troubles similaires au niveau du sphincter anal, ainsi que des troubles de l'érection. La vie sociale, le travail et la vie de couple de ce papa de deux enfants sont très fortement dégradés. L'estime de soi est violemment impactée.

- Troubles gastro-intestinaux : douleurs, ballonnements, besoin impérieux d'aller à la selle, incontinence et fuites anales, constipation et/ou diarrhées... et un recours à des vidanges manuelles des matières fécales si évacuation partielle

- Troubles locomoteurs : le périmètre de marche peut être impacté à cause du handicap.

- Troubles cognitifs : mémoire, concentration, reconnaissance altérée des membres de sa famille, capacité à effectuer des travaux intellectuels etc.

- Troubles psychologiques : estime de soi et intégration sociale concernant la vie sociale, la carrière professionnelle, la vie de famille et l'équilibre du couple. Tous sont perturbés par les conséquences fonctionnelles et/ou psychologiques. Citons: le handicap physique, la dépression, la fatigue chronique, la perte de l'estime de soi, la dégradation de l'image personnelle...et les problèmes d'emploi. Des propositions d'accompagnement et de prise en charge, avec un ou des organismes dédiés à des personnes en situation de handicap sont nécessaires, mais elles sont difficiles à mettre en œuvre par les patients. La réadaptation du poste de travail ainsi que la révision de la durée du temps de travail sont quasi obligatoires. Quid de la politique RH des entreprises ?

- Perte de sécurité financière : malheureusement, dans des cas de handicaps très sérieux, la perte de l'emploi est inéluctable avec disparition de l'équilibre financier du patient, mettant certains en situation de précarité.

- **Argument 3 :** En synthèse : Que ce soit chez l'enfant, l'étudiant, le jeune adulte, l'actif, les jeunes retraités ou les seniors, tous sexes et toutes catégories socio-professionnelles confondus, la maladie a de graves répercussions humaines et financières pour tout le monde sans exception. Elle peut vous isoler du jour au lendemain en raison de la gravité des attaques et de tous les troubles moteurs et sensoriels décrits. La dégradation majeure de la qualité de vie et de l'estime de soi, s'accompagne d'une perte de chance dans la vie professionnelle comme personnelle. L'aspect qui pose le plus de difficultés est l'errance diagnostique, car elle allonge le temps avant le " bon " diagnostic... La confusion avec la SEP et d'autres maladies touchant le SNC est une perte de chance majeure, avec les conséquences désastreuses décrites ci-dessus. Nous vous laissons imaginer la vie d'une jeune femme ayant perdu la vue subitement, et qui ne se voit plus dans son miroir....

→ **Quel est l'impact de cette maladie sur la qualité de vie des patients ou de leurs proches ?**

Face à l'installation rapide des séquelles graves et la prise en charge compliquée (traitements, soins hospitaliers et à domicile ...), la vie personnelle de chacun est bouleversée et la sécurité de la sphère familiale se fissure. Il ne faut pas négliger l'impact violent des effets émotionnels avec l'apparition d'un stress, l'incompréhension face à la rareté de la maladie, cette fameuse injustice du " pourquoi moi ". Un grand point à améliorer : l'annonce du diagnostic. Souvent mal faite et/ou maladroite, les professionnels de santé ont un vrai besoin de travailler cet aspect, pour les malades et les proches. La famille se sent vite démunie. Les aidants ne connaissent pas la maladie, les proches ne savent pas quoi faire. Certains s'enferment dans le déni ou la fuite, d'autres deviennent agressifs. Le malade se sent très souvent perdu, incompris et finalement seul malgré le personnel soignant. La vie sociale est bouleversée, sorties, vacances, vie culturelle, travail, relations amicales sont forcément impactés (cf troubles évoqués plus haut). Point non négligeable, les relations intimes peuvent être perturbées voire disparaître face aux poussées (baisse ou absence de libido...), sans parler des conséquences désastreuses, avec séparation et divorce, qui renforcent l'isolement.

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

Fatigue oculaire, maux de tête qui accentue l'état général. C'est l'impact inflammatoire sur les nerfs optiques. Grande fatigue et intenses douleurs aux membres inférieurs (sensation de pied écrasé, fourmillements incessants...).

– **Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur**

Les enfants qui vivent l'expérience d'une attaque avec des conséquences comme la cécité, la paralysie voir le coma, subissent un impact violent qui engendre une rupture avec leur corps et la question de comment se construire après une telle expérience. Cela impacte et perturbe leur état émotionnel et physique sans parler de la rupture de leur vie (scolaire, sociale...).

– **Activités de la vie quotidienne :**

La violence des attaques, rappelons que les attaques sont rapides, violentes, aiguës et invalidantes. Donc l'impact c'est une longue hospitalisation en service de neurologie suivie entre 3 à 24 mois en rééducation (en hospitalisation complète). Exemple : Un jeune homme de 23 ans qui a eu une attaque, il est en hospitalisation depuis 3 ans, il ne marche pas et ne parle pas. Autre exemple : Une femme de 50 ans en rééducation complète avec des allers retours en service neurologie et avec des attaques successives (perte de la vue et paraplégie). L'impact physique : recours à des aidants et à des structures adaptées qui a fait largement défaut pendant la période du Covid-19. Recours à des thérapeutiques pour soulager les douleurs, voir hospitalisation pour

recevoir des thérapeutiques en intraveineuse suite à l'échec des traitements classiques par voie orale (anti douleur).

Pour ceux qui rentrent chez eux, les patients sont confrontés à l'isolement. En raison de la survenue rapide d'handicap, il persiste un temps assez long avant de pouvoir mettre en place l'accompagnement nécessaire aux malades tant les troubles sont diverses, invalidants, mal connus, mal perçus et parfois peu nommés. Par exemple, il y a des personnes malvoyantes et/ou paraplégiques dont leur état se dégrade rapidement et l'accompagnement n'a pas encore été mis en place. L'absence de thérapeutique confronte les malades au recours sur le long terme à des allers retours en service neurologique pour recevoir des bolus de cortisone et/ou de la plasmaphérèse afin de contrôler la récurrence des poussées. Sans thérapeutique, pas de contrôle des poussées et pas de possibilité d'entrer dans un processus de rééducation ; ce qui entraîne le retard du processus pour apprendre à vivre avec un ou plusieurs déficits. Pas de thérapeutiques, trop d'attaques et de poussées et pas de chance pour continuer à vivre.

– **Mobilité/déplacement :**

La mobilité en générale est compliquée voir quasi nulle pour les patients selon leur état.

Il faut accepter le changement de sa vie afin d'accepter le changement dans le lieu de vie.

Elle est complètement entravée car il faut tout réaménager son lieu de vie.

Cela engendre parfois un changement de domicile (déménagement) voir un placement en structure.

Par exemple, pour les enfants, cela peut engendrer un éloignement de la famille.

Dans tous les cas, les patients sont confrontés à un bouleversement tragique en peu de temps de leur vie (éloignement de la famille/amis) et de leur lieu de vie.

– **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**

La réadaptation du poste de travail ainsi que la révision de la durée du temps de travail sont quasi obligatoires. Et trop souvent un classement en inaptitude est déclaré aux malades.

– **Vie affective :**

La dégradation majeure de la qualité de vie et de l'estime de soi s'accompagne d'une perte de chance dans la vie professionnelle comme personnelle.

La vie affective est fortement impactée, les malades ne reconnaissent plus leurs proches et les proches ne reconnaissent plus leur proche malade.

Conséquences : séparation, divorce, solitude.

– **Vie sexuelle :**

Point non négligeable, les relations intimes peuvent être perturbées voire disparaître face aux poussées (baisse ou absence de libido...), sans parler des conséquences désastreuses, avec séparation et divorce, qui renforcent l'isolement.

– **Vie sociale :**

La vie sociale est bouleversée, sorties, vacances, vie culturelle, travail, relations amicales sont forcément impactés (cf troubles évoqués plus haut).

– **Autres aspects :**

Que ce soit chez l'enfant, l'étudiant, le jeune adulte, l'actif, les jeunes retraités ou les seniors, tous sexes et toutes catégories socio-professionnelles confondus, la maladie a de graves répercussions humaines et financières pour tout le monde sans exception. Elle peut vous isoler du jour au lendemain en raison de la gravité des attaques et de tous les troubles moteurs et sensoriels décrits. La dégradation majeure de la qualité de vie et de l'estime de soi, s'accompagne d'une perte de chance dans la vie professionnelle comme personnelle. L'aspect qui pose le plus de difficultés est l'errance diagnostique car elle allonge le temps avant le " bon " diagnostic... La confusion avec la SEP et d'autres maladies touchant le SNC est une perte de chance majeure avec les conséquences désastreuses décrites ci-dessus. Nous vous laissons imaginer la vie d'une personne ayant perdu la vue subitement et qui ne se voit plus dans son miroir....

Malheureusement, le soutien et l'accompagnement de ces malades est difficile à mettre en place en raison de la multitude des troubles. Exemple : La rééducation d'un malvoyant en centre spécialisé va prendre 3 fois plus de temps en raison de la fatigue chronique et de la faiblesse du patient. Un malvoyant de la neuromyéélite optique est à considérer comme un malvoyant avec un handicap rare dont le processus de rééducation prend plus de temps lié aux différents troubles et nécessite de retourner plusieurs fois en formation en raison de la dégradation de sa malvoyance.

4. Les traitements actuellement disponibles

L'autorisation pour la demande d'accès précoce prendra en compte l'existence ou non de traitements dûment autorisés et dont les objectifs et effets sont équivalents au médicament proposé en accès précoce (disponibilité ou non d'un traitement approprié).

→ **Quels sont les traitements actuels (curatifs ou palliatifs) utilisés par les personnes concernées dans l'indication mentionnée pour ce dossier ?**

Par exemple, autres médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Il convient de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le traitement pour lequel un accès précoce est demandé (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.)

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement, etc...).

Votre réponse :

Il s'agit des spectres d'un trouble de la neuromyéélite optique (NMO SD), un ensemble des maladies donc des profils de patients différents dont le traitement dépend des symptômes cliniques.

Il y a des traitements qui sont utilisés hors AMM tels que les immunosuppresseurs ((rituximab, azathioprine, mycophénolate mofétil).

Il existe également des traitements biologiques ayant une AMM : SOLIRIS (eculizumab) et ENSPRYNG (satralizumab) qui a obtenu une AMM.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne sont pas appropriés ?**

- Argument 1 :

Les traitements actuellement utilisés sont majoritairement hors AMM. Notamment, le RITUXIMAB qui est le plus utilisé.
- Argument 2 :

S'agissant des troubles du spectre de la neuromyéélite avec diversités des profils patients qui réagissent différemment au traitement administré avec une persistance de poussée (constituant une urgence absolue de traitement) malgré leur mise sous traitement. Il existe donc un besoin de traitement nouveau avec différents modes d'action afin d'enrichir l'arsenal thérapeutique actuel.
- Argument 3 :

La poussée en NMO SD entraîne des conséquences graves pour le patient. Il se retrouve souvent avec une accumulation de handicap visuel et moteur avec une perte d'autonomie pour plus de la moitié des patients en NMO SD. Comme recommandé par le PNDS, la prévention de la poussée constitue un enjeu majeur de la NMO SD. Les traitements actuellement disponibles ne permettent pas de prévenir les poussées de manière durable, les patients sont souvent en échec de ces traitements sans oublier les effets indésirables pouvant survenir. Il persiste donc un besoin de disposer de traitement avec une action rapide et durable.

5. Le médicament étudié en vue d'un remboursement dérogatoire dans le cadre d'une autorisation en accès précoce

Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement (par exemple, au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur), remplir la rubrique « 5.1. L'expérience avec le médicament étudié » et expliquer la méthode avec laquelle vous avez recueilli cette expérience dans la rubrique « 8. Méthodes. »

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, remplir la rubrique « 5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié ».

La Haute Autorité de santé évaluera le caractère innovant, notamment au regard des changements substantiels que cette nouvelle modalité de prise en charge apporte aux patients. Il est important d'identifier ce qui peut constituer du point de vue des personnes un changement substantiel au regard de l'impact de la maladie sur la qualité de vie.

Les catégories suivantes sont proposées à titre indicatif. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients majeurs qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé du patient, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave*
- *la qualité de vie du patient (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives),*
- *la qualité de vie de ses proches,*
- *l'usage de ce traitement,*
- *le parcours de santé et de vie du patient*
- *autres.*

5.1 L'expérience avec le médicament étudié

Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement

Ne remplir cette partie que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles sont les 3 améliorations majeures qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

- Amélioration majeure 1 :

Non applicable

- Amélioration majeure 2 :

- Amélioration majeure 3:

-
- Autres améliorations :
-

Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Ne remplir que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quels sont les 3 principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié identifiés par les patients, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

- Inconvénient principal 1 :

Non applicable

- Inconvénient principal 2 :
-

- Inconvénient principal 3 :
-

- Autres inconvénients :
-

5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié

Vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients ayant utilisé le médicament étudié, mais souhaitez donner votre point de vue sur ce médicament.

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quelles seraient les 3 améliorations majeures qui vous permettraient de dire que le médicament étudié vous semblerait **innovant** par rapport aux traitements actuels ?

- Attente majeure 1 :

Action (évacuation des poussées) rapide, forte et durable.

- Attente majeure 2 :

Utilisation, facilité (durée de la perfusion et nombre de perfusions par an) à l'hôpital notamment lorsqu'il s'agit de traitement intraveineux

- Attente majeure 3:

Réduction du handicap.

- Autres attentes :
-

5.2.2. Vos craintes concernant le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles sont les principales craintes que soulignent les patients concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?**

- **Crainte principale 1 :**

Non applicable car aucune expérience

- **Crainte principale 2 :**
-

- **Crainte principale 3 :**
-

- **Autres craintes :**
-

6. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé

*La HAS peut décider de transmettre le projet de Protocole d'utilisation thérapeutique (**sous engagement de confidentialité**) – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations **ou groupes d'utilisateurs du système de santé**. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le*

médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

→ **Quels sont les 3 types d'informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement ?**

- **Type d'information 1 :** Nous devrions organiser dès l'arrivée du médicament un parcours coordonné avec le centre de référence. Exemple : Education thérapeutique (ETP).
- **Type d'information 2 :** Evaluer son handicap, qualité de vie
- **Type d'information 3 :** L'absence ou présence de poussée et leur sévérité

→ **Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs²) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?**

- ☒ Non
- ☐ Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?

→ **Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)**

Au sein de l'Association NMO France, nous créons des parcours coordonnés.

→ **Avez-vous un avis sur les mesures de gestion des risques qui vous semblent nécessaires et acceptables à prendre pour les patients qui recevront ce médicament ?**

Non

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

La HAS peut décider de transmettre le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'usagers. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de bien vouloir renseigner la rubrique suivante.

→ **Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?** (NB : le PUT-RD ne peut être communiqué qu'à des membres d'associations uniquement s'ils sont habilités à représenter l'association en tant que personne morale)

² Les PROMs : *Patient reported outcomes measures* sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

Nous souhaitons à l'avenir être impliqué dans ces protocoles thérapeutiques. Nous rappelons que l'Association NMO France est récente et que nous constituons à ce titre des projets qui permettent d'encadrer les bonnes pratiques thérapeutiques avec toutes les personnes concernées.

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple analyse du projet de protocole d'utilisation thérapeutique-recueil de données, enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, ligne téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

→ **Selon quelle méthode avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles (§4) ?**

La présidente de l'Association NMO France est malvoyante. Les bénévoles sont des malades. Donc, NMO France a recours à une assistante administrative.

→ **Selon quelle méthode avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement (§5.1) ? Le recueil a-t-il été réalisé par l'association, par le laboratoire ou par les deux ?**

Par des groupes de soutien sur les réseaux sociaux gérés par l'Association uniquement.

→ **Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**

- ☐ Oui
- ☒ Non

→ **Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?**

L'Association NMO France et soutien à la rédaction (assistante administrative)

→ **L'association a-t-elle reçu des aides extérieures pour soutenir sa contribution ? Si oui, lesquelles ?**

Non

9. Synthèse

*Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :
– Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...*

– Les thérapeutiques actuelles sont (in) adéquates parce que ...
Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que...

Votre réponse :

Exemple de G, un patient NMO de 50 ans. G a repris le travail depuis peu, mais les lésions neurologiques provoquées par la dernière poussée ont affecté sa vessie, il a perdu sa capacité à la vider totalement. Conséquence : une réelle contrainte quotidienne avec les auto-sondages 8 fois par jour qui sont en plus douloureux. Il souffre aussi de brûlures mictionnelles, sans parler des risques d'atteintes rénales. G décrit également des troubles similaires au niveau du sphincter anal, ainsi que des troubles de l'érection. La vie sociale, le travail et la vie de couple de ce papa de deux enfants se sont très fortement dégradés. L'estime de soi est violemment impactée.

Autre exemple : Un jeune homme de 23 ans qui a eu une attaque, il est en hospitalisation depuis 3 ans, il ne marche pas et ne parle pas.

Autre exemple : Une femme de 50 ans en rééducation complète avec des allers retours en service neurologie avec des attaques successives (perte de la vue et paraplégie).

Autre exemple d'une femme de 40 ans : Ce soir, j'ai peur et j'ai tout plein de « Et si ... » dans la tête. Et si je fais une récurrence de névrite, je vais perdre la vue jusqu'où cette fois-ci ? Et si je suis incapable de retourner au travail à cause de la lumière qui est devenue ma pire ennemie ? Et si ma vue se dégrade tranquillement mais sûrement jusqu'à la perdre totalement ? Et si je n'arrive plus jamais à conduire le soir ? Et si et si et si ... un jour à la fois. Comment faire pour rester positif ?

Autre exemple d'une femme de 35 ans, 3 enfants. Travaille dans le domaine de la santé.

Sa vie a basculé en 2020. Suite à plusieurs jours de douleurs à l'œil gauche et une perte de plus en plus importante de la vision, elle consulte en ophtalmologie. On lui diagnostique une névrite optique. Dès le lendemain, IRM cérébrale et elle commence des bolus de corticoïdes. Les bolus sont très efficaces car elle récupère totalement. On lui donne un rdv 1 mois après avec une neurologue. Elle entame un arrêt de travail car à ce moment-là c'est le premier confinement et les médecins ne veulent pas qu'elle attrape la Covid-19. Le rendez-vous avec le neurologue a lieu, et là, ça se passe très mal, elle découvre qu'elle a une NMO SD. On lui explique très peu les choses, son devenir... Elle a pleins de questions car à 35 ans, elle a encore des projets d'enfants etc. Elle rentre chez elle dans un état d'angoisse intense.

Elle choisit d'aller consulter un autre neurologue, cette consultation se passe très bien, elle tombe sur une personne très humaine qui lui explique la maladie, qui lui refait faire les examens... Suite à cela, on lui explique qu'elle a probablement une forme non récidivante. La voilà soulagée.

Elle décide alors avec son compagnon de faire un 3ème bébé.

Pendant presque 2 ans, elle a vécu pratiquement sans penser à la maladie.

Et puis, il y a 4 semaines, la douleur bien spécifique réapparaît, de plus en plus importante avec une baisse de l'acuité visuelle. Elle contacte son neurologue. Elle file aux urgences ophtalmologiques pour faire le point. Résultat, perte quasi totale de la vue au niveau de l'œil gauche (10/10 habituellement et là 0,5/10).

Avant de commencer les bolus, son neurologue lui fait faire une prise de sang à la recherche d'une infection et un Test PCR Covid-19 car son fils a le covid et qu'elle n'avait pas pris plus de précaution.

Il s'avère qu'elle est positive à la Covid-19. Dans cette situation, les médecins ne veulent pas lui faire des bolus de corticoïdes mais décident de lui faire des échanges plasmatiques. Elle est donc hospitalisée en réanimation neuro pour les échanges car ils ne peuvent pas se faire en ambulatoire à cause de la Covid-19. L'hospitalisation est très difficile. On doit lui poser plusieurs cathéters centraux car impossible de la piquer.

Elle a finalement des bolus de corticoïdes qu'elle a du mal à supporter... Elle est loin de ses enfants...

Elle finit par avoir une thrombose au niveau du cathéter.....Donc en plus de la maladie, elle se retrouve avec un traitement pour la thrombose...

Elle sort pour rentrer chez elle et 24h après, elle appelle le SAMU car elle a énormément de palpitations.

Elle est en train de faire la complication de la thrombose, l'embolie pulmonaire...

Elle est marquée physiquement et psychologiquement par cette seconde poussée.

Elle a commencé un premier traitement depuis 8 jours maintenant.

Elle ne le tolère pas très bien, fatigue intense, baisse de l'hémoglobine et inconfort digestif. .. Elle vient d'envoyer un mail à son neurologue pour lui en faire part.