

Questionnaire de recueil du point de vue des patients et usagers pour l'évaluation du filgotinib

Pour remplir ce questionnaire plusieurs actions ont été mises en œuvre

Sur le ressenti des patients

- Remontée des forums de l'afa (www.afa.asso.fr) via une méthodologie développée par un data-scientist (vécu de la maladie sur les 10 dernières années des forums).
- Les données d'une étude qualitative réalisée fin 2019 sur la vie avec une MICI, Regards croisés sur les MICI, extraction des données de patients RCH , Etude qualitative réalisée par l'afa et Ipsos fin 2019 « regards croisés sur les MICI »

Sur la maladie, son impact etc.

Différents travaux d'enquêtes réalisées et publiées par l'afa

- Etude MICI et vie professionnelle 2016
- Etude BIRD sur le ressenti du fardeau de la maladie sur la qualité de vie, enquête réalisée par l'afa et le CHU de Nancy 2014

A l'heure actuelle le filgotinib n'a été donné qu'à des patients dans le cadre d'études cliniques, patients qu'il est assez difficile d'atteindre. Nous proposons dans le cadre de cette contribution de refaire un point sur les enjeux de la rectocolite hémorragique en 2021 du point de vue des patients.

Cette maladie qui tend à augmenter en France, y compris chez les tous petits, peut dans certains cas être relativement sévère.

Elle peut impacter la qualité de vie et avoir des conséquences très importantes dans la vie d'une personne. Cette contribution traitera donc de l'épidémiologie, des complications, de l'impact, des enjeux de la chirurgie radicale dont on sait qu'elle n'est pas curative puisque des séquelles persistent, soit inflammatoires soit fonctionnelles, de l'acceptabilité des traitements actuels selon leur mode d'administration.

Ceci pourra permettre de donner une idée du contexte et de l'intérêt de développer et de commercialiser des traitements où le patient gagne en qualité de vie, et évite la chirurgie et ses conséquences.

RECTOCOLITE HEMORRAGIQUE (RCH) : ETAT DES LIEUX

Environ 125 000 patients atteints en 2021 en France

Il existe un pic diagnostic entre 15 et 30 ans et après 60 ans

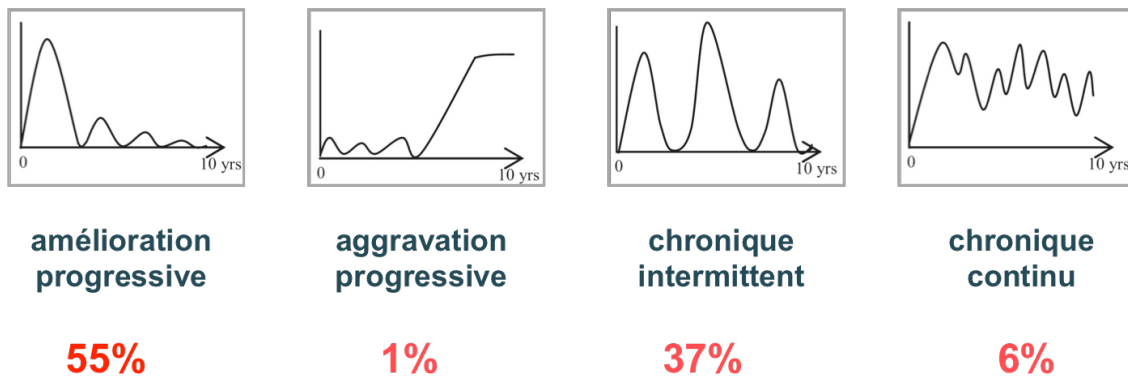
A l'heure actuelle, si la RCH est une maladie peut être maîtrisée dans un tiers des cas, une partie des malades résistent à tout traitement et risquent à terme des complications :

- Anémie : complication majeure, causée par les saignements et l'inflammation
- Thrombophlébites
- Colite sévère
 - ✓ Dilatation du côlon + état de choc

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des

- ✓ Traitement médical urgent ± colectomie
- Perforation : sur mégacôlon toxique
- Cancer du côlon : rare, dépend des facteurs de risque suivants
 - ✓ Ancienneté et extension
 - ✓ Antécédents familiaux
 - ✓ Cholangite sclérosante primitive
 - ✓ Inflammation persistante
 - ✓ Pseudopolypes
 - ✓ Sténose colique
 - ✓

Cohorte d'inclusion danoise (IBSEN study), n=423/519, suivi 10 ans



Les symptômes de la maladie sont des symptômes qui isolent. Douleurs abdominales, diarrhées sanglantes et fatigue rythment le quotidien des malades. Ces symptômes peuvent contraindre les patients à renoncer à nombre de déplacements et, dans les cas plus sévères, les confinent à l'isolement. La fatigue, le manque d'appétit, l'altération de l'état général qui accompagne souvent les poussées, requièrent par ailleurs des efforts considérables pour maintenir l'activité quotidienne la plus normale possible. Enfin, le tabou de l'évocation en société de problèmes liés à la sphère intestinale demeure fort et s'assortit de la difficulté de vivre avec une maladie dont on ne peut pas guérir.

La RCH répond à des phases d'activité d'intensité et de fréquence variable, des « poussées », qui se traduisent chez le patient par une impossibilité d'organiser sa vie sociale sur le long terme. Si pour certains malades les poussées sont espacées de 2 ou 3 ans, d'autres souffrent en effet de poussées rapprochées et de longue durée dont les symptômes durent plusieurs semaines, quand ce n'est pas plusieurs mois. L'imprévisibilité des poussées (qui imposent de se rendre aux toilettes jusqu'à une quinzaine de fois le jour comme la nuit), rend complexe toute planification de sortie, de voyage ou d'engagement dans une activité de groupe qui requiert assiduité et régularité dans sa pratique.

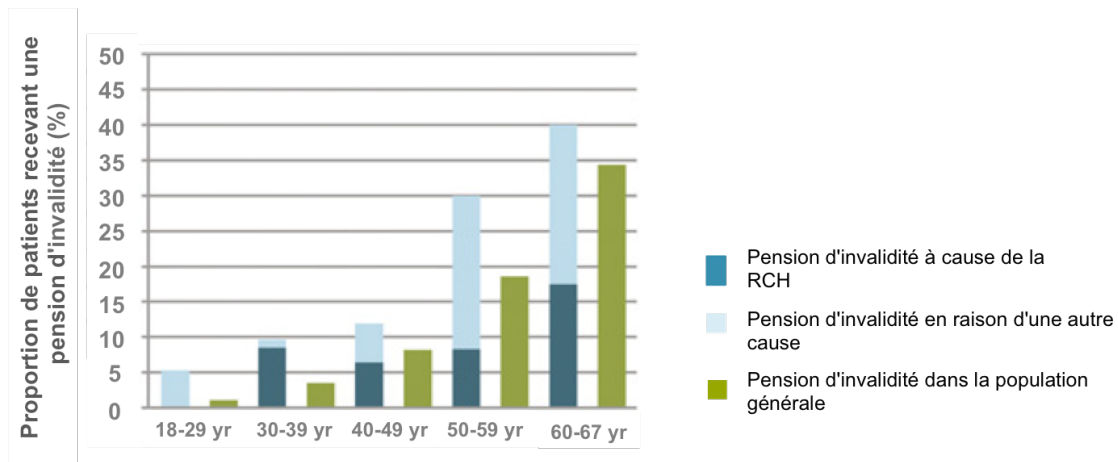
IMPACT SUR LA VIE PROFESSIONNELLE

Ce ne sont pas moins de 9% des patients qui font état d'un licenciement directement lié à leur maladie (Etude afa/IFOP Travail et MICI réalisée auprès de 1400 patients en 2016). Nombre de

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des

patients modifient leur parcours professionnel à cause de leur maladie et doivent aménager leurs horaires dans l'objectif de pouvoir travailler le plus normalement possible. Malgré cela, certains patients se voient contraints d'arrêter toute activité professionnelle.

- Etude en population norvégienne (cohorte IBSEN)
 - 518 patients suivis pendant 10 ans, comparaison des incapacités de travail d'une population RCH versus population générale.
 - Risque Relatif pension d'invalidité : 1,8 (IC 95 % 1,4 : 2,3).
 - Risque Relatif plus élevé chez patients âgés de moins de 40 ans.



Marte Lie Heivik *Gut* doi:10.1136/gutjnl-2012-302-311

33

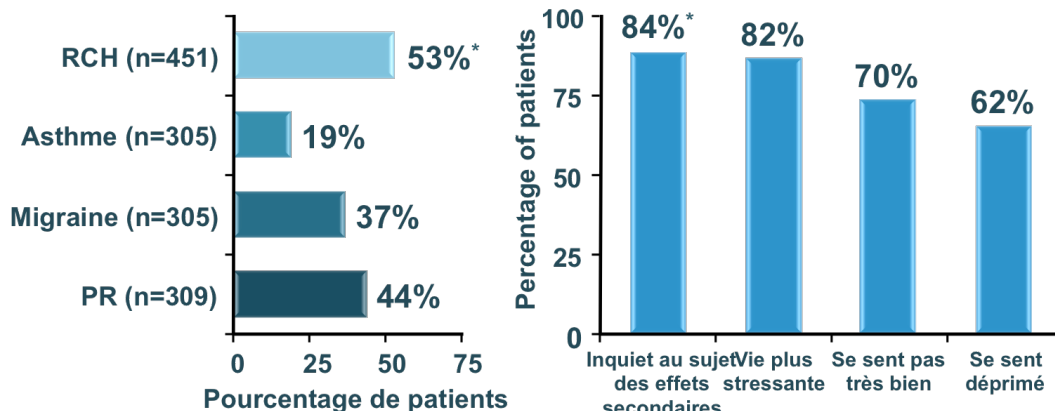
MAUVAISE QUALITÉ DE VIE

La rectocolite hémorragique, qu'elle soit modérée ou sévère a un impact majeur sur la qualité de vie des patients.

Ici, dans cette étude de 2010 la maladie impacte davantage les patients atteints de RCH, que ceux atteints d'asthme, de migraine, ou de polyarthrite rhumatoïde.

Proportion de patients qui pense que la maladie impacte leur vie

Impact psychologique de la RCH



* $p < 0.05$ vs autres pathologies chroniques

Résultats de l'étude qualitative Regards croisés sur les MICI (Etude réalisée en décembre 2019 par l'afa avec IPSOS) Verbatims

Vie sociale au point mort

« Quand ça m'est arrivée je n'avais que 19 ans et j'ai perdu tous mes amis. Je n'avais plus aucun ami, plus personne et vous n'avez pas envie de voir du monde, je me suis vu aller jusque 30 fois aux toilettes par jour, vous ne pouvez recevoir personne quand c'est ça ; donc je me suis renfermée sur moi-même. »

Anxiété et dépression

« Je n'ai jamais eu de suivi psychologique. En fait c'est pas vrai, mais c'est parce que c'était à une époque où je n'osais plus sortir de chez moi du tout, de peur, parce que ça m'était arrivé d'avoir une diarrhée devant une caissière, je me souviens de partir en courant et ça m'est arrivé plusieurs fois. Je ne voulais plus sortir de chez moi et du coup c'était le médecin généraliste à l'époque qui m'avait donné un antidépresseur. Aujourd'hui encore, dès que je sens que j'ai mal au ventre, j'évite de sortir »

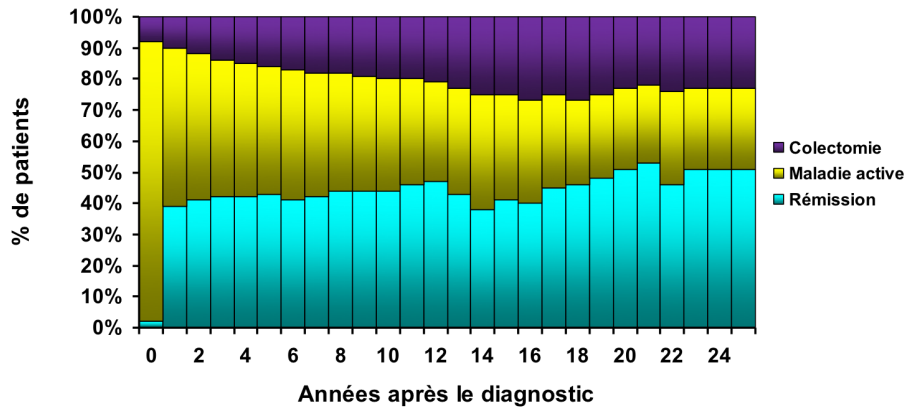
Pas glamour

« En fait j'étais avec quelqu'un et infirmier en plus, et on s'est séparé : il m'a beaucoup aidée au début de la maladie mais à la fin c'était plus un infirmier qu'un mari »

UNE CHIRURGIE RADICALE ET CONSÉQUENTE

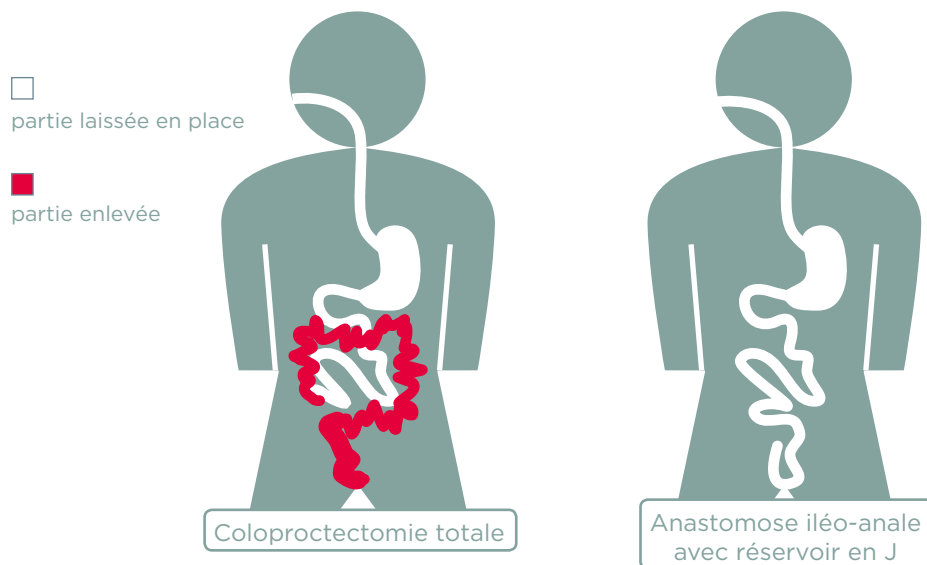
**La chirurgie reste fréquente, lourde et n'est pas sans conséquences.
20 à 30% des patients auront une colectomie totale liée à l'évolution de leur maladie et à l'échappement des traitements.**

20% à 30% des patients RCH ont une colectomie après 10 et 25 ans d'évolution



Langholz E et al. *Gastroenterology*, 1994

Les malades de RCH qui ont résisté à tout traitement se voient proposer en général une chirurgie qui enlève le côlon et le rectum là où potentiellement la maladie pourrait réapparaître. C'est une chirurgie extrêmement lourde. On enlève complètement le colon et le rectum et on raccorde l'extrémité du grêle à l'anus après avoir confectionné un réservoir sur la fin du grêle. Une ileostomie (poche) est mise en place à l'endroit repéré par le chirurgien ou une infirmière stomathérapeute avant l'opération. Elle sera supprimée quelques mois plus tard, après cicatrisation de la suture entre grêle et anus.



Les patients continueront à avoir de nombreuses selles pendant diurnes et nocturnes plusieurs semaines. Voire plusieurs mois. Les selles peuvent rester fréquentes, en moyenne 6 par jour, malgré la confection du réservoir. Dans quelques cas une inflammation du réservoir (pochite) peut survenir et aboutir de manière exceptionnelle à l'ablation du réservoir avec stomie définitive. Les troubles sexuels après AIA (Anastomose Iléo-Anale) sont rares chez l'homme : moins de 1% des patients peuvent présenter une éjaculation rétrograde ou une

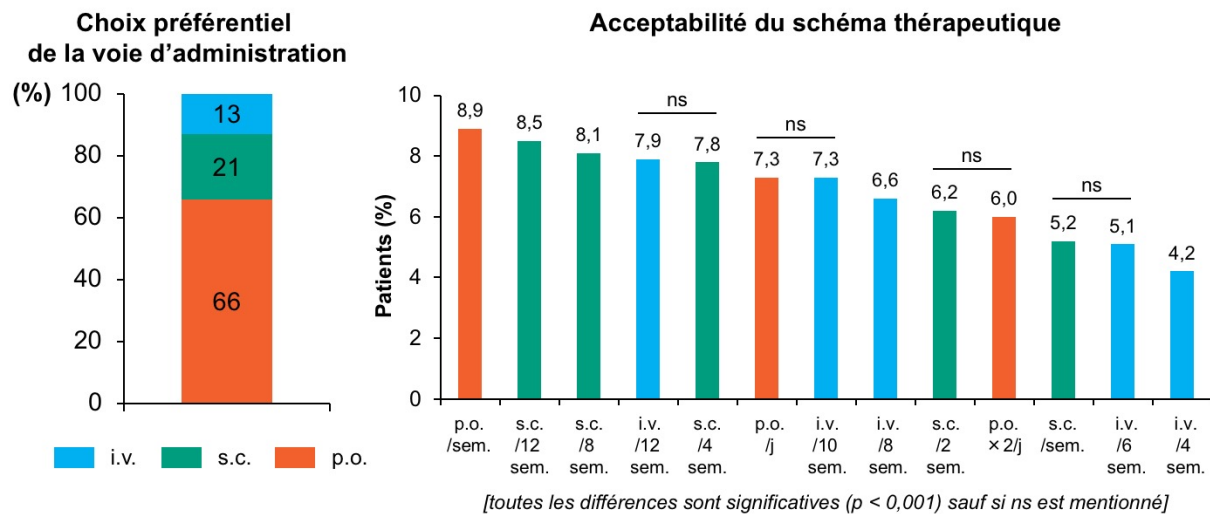
Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des

impuissance. Par contre, chez la femme la fertilité peut être diminuée chez environ 50% des patientes opérées par laparotomie.

PATIENTS ATTEINTS DE MICI ET ACCEPTABILITÉ DES MODES D'ADMINISTRATION

Enquête menée dans 24 centres français publics ou privés pendant 6 semaines

Questionnaires remis aux patients 1850 réponses - Acceptabilité évaluée par une échelle visuelle analogique



Buisson et al. DDW 2020, abstr. Sa1743

Résultats de l'étude qualitative Regards croisés sur les MICI (Etude réalisée en décembre 2019 par l'afa avec IPSOS)

Verbatims des patients au sujet des contraintes des traitements

« Là je suis malade depuis cinq ans, j'ai changé cinq fois de traitement, la maladie n'est pas en rémission et j'ai changé de traitement lundi dernier et donc maintenant je vais à la clinique pour des perfusions. Il faut prévoir des jours pour permettre de se rendre à la clinique, j'ai un mi-temps et je peux le faire »

« Ras le bol des piqûres et des injections (...) développer des traitements sous forme de comprimés, pour faciliter leur prise. »

En synthèse

- La RCH est une maladie handicapante qui touche des gens jeunes, potentiellement sévère et qui peut amener dans un tiers des cas à une colectomie totale.
- La colectomie totale amène son lot de complications **dont une infertilité chez 50% des jeunes femmes en cas de laparotomie**
- **Le comprimé versus la perfusion ou l'injection est une avancée majeure pour la qualité de vie des patients.**

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des

Sources et références :

Sur l'impact de la RCH : Rubin DT *et al. Dig Dis Sci.* 2010;55:1044–52

Cohorte d'inclusion danoise (IBSEN study) : Solberg, *Scand J Gastro* 2009; 44: 431

Etude qualitative Regards croisés sur les MICI :

Sur l'impact sur la vie professionnelle : Marte Lie Høivik *Gut* doi:10.1136/gutjnl-2012-302-311

Chirurgie : *Course of ulcerative colitis: analysis of changes in disease activity over years.* Langholz E *et al. Gastroenterology.* 1994

Résumé en français : <http://eurekasante.vidal.fr/actualites/20444-210-000-francais-atteints-d-une-mici-crohn-ou-rch-etude-de-leur-prise-en-charge-therapeutique.html>

Epidémiologie des MICI : http://ns226617.ovh.net/RDP/2014/9/RDP_2014_9_1210.pdf

BIRD, le fardeau des MICI : <http://www.observatoire-crohn-rch.fr/bibliotheque-de-donnees/infographies/bird-le-fardeau-des-mici-resultats-preliminaires-juillet-2015/>

**Patient reported outcomes in a French Nationwide Survey of IBD
<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/27516406>**

Forums de l'afa : <https://www.afa.asso.fr/forum/forum.html>

Acceptabilité des traitements : Buisson *et al. DDW* 2020, abstr. Sa1743