

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 : ULTOMIRIS (ravulizumab) /
Nouvelle indication pédiatrique dans le traitement de l'hémoglobinurie
paroxystique nocturne chez les patients pédiatriques pesant 10kg ou
plus.**

Nom et adresse de l'association : **HPN France – APLASIE MEDULLAIRE : Hôpital Saint Louis –
1 avenue Claude Vellefaux – 75010 PARIS**

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire
--

Indiquer la méthode utilisée pour remplir le questionnaire et notamment la nature des informations mobilisées (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, ligne téléphonique, nombre de participants, ... avec les périodes concernées).

Recueil en ligne et téléphonique. Compte tenu de rareté de la pathologie chez les patients pédiatriques pesant 10kg ou plus nous avons malgré tout pu obtenir une contribution pour cette évaluation. Ce recueil a eu lieu en Juin 2022.

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

M. AYAD Adel, Président de l'Association - Mme ZAFRA Valérie, Vice-Présidente de l'Association

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

NON

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 ?

Symptômes les plus importants à contrôler :

Fièvre, douleurs abdominales intenses, ictère conjonctival, fatigue, difficultés respiratoires, maux de tête, urines de couleur foncée.

Impact fonctionnel :

- Difficultés à exercer certaines activités sportives intenses du fait des symptômes précités.
- A horizon long terme, fatigue potentiellement pénalisante dans le cadre de l'intensification du rythme scolaire et de la capacité à exercer des activités extra-scolaires nécessaires à l'équilibre mental et psychique des patients.

Impact social/relationnel :

- Perte de capacité à l'école : rattrapage des cours/devoirs en retard en lien avec les jours d'hospitalisation, perte de confiance, difficultés relationnelles, impact sur la santé mentale, impact financier à court et moyen termes ;
- Prise régulière de médicament à expliquer à l'entourage direct.

Aide pour la vie quotidienne :

- A horizon très court terme, pas d'aide particulière identifiée ;
- A horizon moyen terme du fait de la périodicité (tous les 2 ans) du myélogramme : gestion de l'anxiété dans le cadre de cet examen invasif ;
- A horizon long terme, dans la perspective d'une poursuite des études supérieures hors de France voire hors Union Européenne (UE), nécessité d'une aide/accompagnement administratif dans un cadre/environnement méconnu de prise en charge ainsi que psychologique ;
- Restriction des destinations touristiques aux seules zones géographiques dotées d'un système sanitaire développé et d'un médecin référent hématologue adressé par l'hôpital ;
- Equilibre familial : organisation requise afin d'articuler les consultations périodiques en hôpital de jour (HdJ) et assurer un équilibre familial harmonieux.

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

- Impact émotionnel/psychologique, fatigue, stress du fait d'une charge mentale majorée, dépression ;
- Impact sur l'évolution professionnelle parentale : exposition à une paralysie de la situation professionnelle en lien avec les absences périodiques ;
- Rupture de l'équilibre familial du fait des consultations médicales régulières.

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'administration du Soliris [*Eculizumab*] (par voie intraveineuse d'une durée d'1h30 suivie d'une heure de surveillance) requiert une fréquence bimensuelle de consultation en Hôpital de Jour (HDJ) :

- Efficacité et bonne tolérance du traitement ;
- Difficulté de conservation requérant le respect d'un timing strict ;
- Triple impact sur la vie scolaire du patient et professionnelle pour l'entourage parental ainsi que celui de la fratrie (organisation du mode de garde) résultant de la mobilisation d'une journée entière pour la consultation en HdJ ;
- Pas d'effets indésirables formellement identifiés à ce stade, excepté l'apparition d'une éruption cutanée chronique avec une légère démangeaison, essentiellement localisée dans le cou sans pour autant de lien direct établi avec ledit traitement après consultation dermatologique à l'hôpital Saint Louis (mycose écartée) ;
- Impact financier considérable dans la perspective d'une prise en charge hors de France voire hors UE ;
- Effets long terme potentiellement négatifs (antibiorésistance) d'une antibiothérapie en prophylaxie
- Faible recul sur le traitement et ses effets à horizon long terme, à ce stade.

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

- Administration du traitement facilitée : voie orale vs. intraveineuse (actuellement), fréquence minorée des consultations hospitalières (par allongement de l'effet du traitement dans l'organisme) contribuant à une amélioration de la qualité de vie des patients ;
- Accompagnement systématique par un suivi psychologique en fonction de l'évolution de la maladie.

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 ?

Composantes positives

- Efficacité
- Tolérance au traitement - sans observation d'effets indésirables, à ce stade - avec pour conséquence directe une amélioration significative de la qualité de vie ;
- Souplesse au niveau de la planification de la consultation en Hôpital de Jour (fenêtre de 7 jours).

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

Composantes négatives

- Difficulté d'usage : voie intraveineuse d'une durée de 3h suivie d'1h de surveillance ;
- Difficulté de conservation requérant le respect d'un timing strict ;
- Impact sur la vie scolaire du patient et professionnel pour l'entourage parental : mobilisation d'une journée entière pour consultation en HdJ ;
- Impact financier considérable dans la perspective d'une prise en charge hors de France voire hors UE ;
- Effets long terme potentiellement négatifs (antibiorésistance) d'une antibiothérapie en prophylaxie ;
- Faible recul sur le traitement et ses effets à horizon long terme, à ce stade.

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 ?

Néant – non applicable

5. Information supplémentaire

Pas d'autre information

6. Synthèse de votre contribution

Les caractères insidieux et invisible de la maladie représentent les plus grandes difficultés pour le patient, dans la mesure où la fatigue est difficilement mesurable. Par ailleurs, l'impact financier significatif du traitement quant à une hétérogénéité de prise en charge selon le système de santé du pays de résidence du patient (France vs. reste du monde) reste un élément de préoccupation majeur.

Le médicament faisant l'objet de la présente évaluation :

- Apporte une réponse adaptée aux attentes du patient en termes d'efficacité, de tolérance et d'amélioration de la qualité de vie dans la mesure où l'espacement des consultations en hôpital de jour est considérable, lequel est porté à 8 semaines (vs. 2 semaines par Soliris, la thérapeutique actuelle) ;
- L'évolution de son mode d'administration par voie orale (vs. intraveineuse nécessitant une journée de prise en charge en hôpital de jour, en l'état actuel) constituerait le principal point d'amélioration en termes de qualité de vie des patients en leur conférant de facto une plus grande autonomie. Nous espérons que les progrès de la recherche médicale donneront ces perspectives non seulement aux patients atteints d'HPN mais aussi à ceux atteints par d'autres maladies présentant les mêmes indications de traitement.

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.