

## **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**

### **Ré-Evaluation de : Nucala** **Indication(s) du médicament concerné : Traitement additionnel dans l'asthme sévère réfractaire, à éosinophiles chez l'adulte**

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 Asthme & Allergies  
8, rue Tronson du Coudray  
75008 Paris

|                                                          |
|----------------------------------------------------------|
| <b>1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire</b> |
|----------------------------------------------------------|

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).

Témoignages de patients reçus au numéro vert Asthme & Allergies Infos Service, sur les réseaux sociaux, par mails et lors de séances d'éducation thérapeutique.

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?  
Christine Rolland, directrice de l'association – Marie-Pierre Rinn, présidente de l'antenne locale (association de patients) de Tours- et Pr Gilles Garcia, pneumologue, président 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 ?**

L'asthme sévère est la forme la plus difficile à prendre en charge de l'asthme. Il concerne environ 5% des asthmatiques en France. Il est caractérisé par la persistance des symptômes d'asthme de manière quotidienne (le jour et la nuit), un handicap fonctionnel important avec une gêne respiratoire dans les activités quotidiennes, la survenue d'exacerbations répétées malgré un traitement de fond bien suivi par corticoïdes inhalés à fortes doses depuis au moins 6 mois, nécessitant le recours à des cures courtes de corticoïdes oraux.

L'asthme sévère induit souvent un handicap invisible. Les patients s'habituent à ce handicap en réduisant progressivement le champ de leurs activités (limitation des loisirs et des sorties, repli social) ce qui rend difficile la reconnaissance du handicap par l'entourage familial et/ou professionnel. Tout cela contribue à la prise de poids, à la fonte musculaire qui vont encore aggraver la gêne respiratoire et le handicap. Cela contribue également aux absences professionnelles répétées, à la nécessité d'adapter le poste de travail mais aussi aux sentiments de frustration, d'altération de l'image de soi, d'incapacité et à un syndrome dépressif.

L'utilisation régulière des corticoïdes oraux, indispensables lors des exacerbations, est responsable d'un nombre important d'effets secondaires (prise de poids, troubles du sommeil, troubles de l'humeur, ostéopénie et ostéoporose, diabète, cataracte et/ou glaucome, hypertension artérielle, augmentation du risque cardiovasculaire).

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

L'asthme sévère génère de l'anxiété et du stress dans l'entourage familial (crainte des crises et des hospitalisations). Les enfants notamment ressentent ce stress. Ils sont très marqués lorsqu'ils ont eu l'occasion de voir leur parent pris en charge par le SAMU ou les pompiers.

Au quotidien, les activités d'un asthmatique sévère peuvent être restreintes :

- certains patients rapportent leurs difficultés à gérer les enfants (jouer au ballon avec eux, faire du vélo, effectuer les trajets domicile/école),
- devoir changer de travail ou y renoncer lorsque le reclassement n'est pas possible (boulangerie, ménage, plâtriers-peintres, imprimerie, paramédicaux, aides à domicile...)
- gérer la fatigue permanente et la faire accepter par l'entourage (famille, amis, entourage professionnel),
- effectuer les tâches ménagères qui demandent un effort (porter les courses, se baisser, passer l'aspirateur)
- anticiper les déplacements pour éviter par exemple de monter des escaliers, devoir se presser...
- adapter sa vie à sa maladie et à ses symptômes en évitant les situations à risques de déclencher des crises (efforts physiques, lieux confinés, sorties par grand froid ou grande chaleur, éviter les rayons lessives ou parfumerie, encens... des supermarchés, lieux fortement climatisés)...
- la vie sexuelle peut également être impactée : les patients n'osent que rarement aborder les problèmes qu'ils peuvent rencontrer dans leur sexualité mettant en lumière le retentissement de l'asthme sur la vie amoureuse. C'est pourquoi l'association Asthme & Allergies a mené il y a

Haute Autorité de Santé, septembre 2017.

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

quelques années une enquête. Un questionnaire a été rempli anonymement par 273 personnes asthmatiques. C'est parmi les personnes qui souffrent de l'asthme le plus sévère que les difficultés sont les plus éprouvantes : 46 % se déclarent gênées par leur asthme pendant les rapports sexuels, au point que 25 % sont même fréquemment contraintes d'interrompre l'acte par manque de souffle. Un tiers des asthmatiques jugent que la maladie retentit ainsi globalement sur leurs relations de couple.

### **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 ?**

Les thérapeutiques disponibles sont celles proposées par le GINA (Global Initiative for Asthma) au palier 5 du traitement de l'asthme. Le traitement de fond repose sur les corticoïdes inhalés à fortes doses et 2 traitements additionnels bronchodilatateurs. Lorsque l'asthme reste mal contrôlé le pneumologue va discuter l'utilisation d'une biothérapie. Le traitement évalué fait partie de ces médicaments.

Ce sont clairement les thérapeutiques les plus adaptées dans la prise en charge de ces patients du fait d'un ratio bénéfice/risque très supérieur à celui des corticoïdes oraux

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

Les attentes principales des patients reposent essentiellement sur 2 points : l'amélioration de la qualité de vie et la disparition de la cortisone de leur quotidien.

La qualité de vie c'est la possibilité de faire ce que la patient souhaite faire au moment où il a envie de le faire sans penser nécessairement aux symptômes que cela va engendrer, au traitement d'urgence qu'il va falloir prendre, à l'image qu'il va donner de lui à son entourage. Tous ces éléments entraînent des conduites d'éviction, un repli social et une usure psychologique majeure liée à la maladie chronique.

La cortisone c'est le bien et le mal pour un asthmatique sévère parce que c'est globalement le seul traitement qu'il fait qu'il se sent mieux pour respirer tout en sachant que c'est un traitement responsables d'effets secondaires majeurs sur la long terme (complications cardiovasculaires avec IDM, AVC), diabète, complication ophtalmo.

Le traitement évalué permet d'améliorer significativement la qualité de vie. Les études de vraie vie le confirment de même que les retours de très nombreux patients. Il permet également de limiter le recours à la cortisone et donc de limiter les risques d'effets secondaires qu'elle entraîne.

### **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?**

Conséquences positives :

Le produit est jugé facile d'utilisation. Les injections pouvant être pratiquées par un professionnel de santé, par un aidant ou par le malade lui-même. Les injections ne sont pas considérées comme douloureuses.

Haute Autorité de Santé, septembre 2017.

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

En début de traitement, les effets bénéfiques se font rapidement ressentir, certains patients parlent même de soulagement spectaculaire dès le 1<sup>er</sup> mois d'utilisation (sensation de bien respirer de nouveau) ce qui a donc un impact très positif sur la qualité de vie.

Diminution des doses de corticoïdes par voie générale.

Effets secondaires :

Certains patients nous ont rapporté des réactions au point d'injection (rougeurs persistantes, « petites boules ») mais les effets secondaires, lorsqu'il y en a, sont plutôt rapportés au médecin qu'à l'association.

Certains se demandent si le médicament doit être pris à vie, s'il y a des effets secondaires à long terme (prise pendant plusieurs années) et si les symptômes réapparaissent à l'arrêt et au bout de combien de temps.

Certains patients sont en échec thérapeutique avec Nucala et nous avons identifié plusieurs raisons :

- refus de s'inscrire dans la durée
- désir de soulagement immédiat (qui n'est pas atteint chez certains patients)
- lassitude de devoir faire pratiquer l'injection chez ceux qui refusent de la réaliser eux-mêmes
- absence d'efficacité sans que l'on ait plus de détails (observance ? indication ?)

Globalement, chez les patients éligibles, chez qui l'indication a bien été posée, on note une réelle satisfaction à l'utilisation du Nucala.

**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 ?**

### **5. Information supplémentaire**

### **6. Synthèse de votre contribution**

**L'asthme sévère est un handicap invisible, pas toujours compris par l'entourage au sens large (famille, amis, milieu professionnel) qui a impact négatif considérable sur la qualité de vie des personnes atteintes.**

**Les thérapeutiques actuelles ne permettent pas encore de traiter tous les asthmatiques sévères, mais des progrès considérables ont été réalisés ces dernières années avec la mise sur le marché des biothérapies (Nucala, Fasenra, Dupixent, Xolair)**

**Selon notre expérience et les retours des patients, Nucala a tout à fait sa place dans cet arsenal thérapeutique et nous sommes favorables à son maintien.**

Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse [contact.contribution@has-sante.fr](mailto:contact.contribution@has-sante.fr) ou de nous appeler au 01 55 93 71 18.