

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

Evaluation de : <Rymphysia >

Indication(s) du médicament concernées : (alpha-1 antitrypsine humaine) / Nouveau médicament pour le traitement d'entretien du déficit sévère et documenté en alpha-1 antitrypsine afin de ralentir la progression de l'emphysème.

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 ADAAT Alpha1-France
2719 route des Courounets 82350 ALBIAS

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).

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?
Sandrine Lefrançois, présidente de l'association ADAAT, les témoignages des patients.

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 ?

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

Lorsque les patients adultes sont diagnostiqués avec un déficit en alpha-1 antitrypsine c'est qu'ils ont déjà des symptômes d'atteinte pulmonaire (emphysème, BPCO, infections pulmonaires récurrentes...) Situation qui s'est aggravée pendant les 5 ans en moyenne d'errance de diagnostic.

L'emphysème étant irréversible, il continue de progresser et de plonger peu à peu le patient en incapacité de respirer sans aide.

Les patients diagnostiqués jeunes (30 ans) ont déjà une BPCO sévère qui les conduit fréquemment à une transplantation pulmonaire vers 40 ans si un traitement d'alpha antitrypsine par perfusion n'est pas rapidement mis en place pour ralentir l'évolution de l'emphysème.

Les autres patients sont diagnostiqués un peu plus tard lorsqu'ils ont eu une bonne hygiène de vie et la pratique d'un sport. Les perfusions d'alpha-1 antitrypsine permettent le ralentissement de l'emphysème ce qui peut permettre d'éviter une transplantation pulmonaire.

Lorsque les patients ont un déficit en alpha-1 antitrypsine (DAAT) :

Symptômes :

- difficultés respiratoires nécessitant une oxygénothérapie au fur et à mesure de l'avancée de l'emphysème,
- infections pulmonaires fréquentes nécessitant parfois une antibiothérapie en traitement de fond
- douleurs thoraciques
- fatigue importante
- syncope possible lors des gestes du quotidien (douche)
- anxiété importante

Impact fonctionnel : *incapacité/difficulté à effectuer certaines activités,*

- difficulté à marcher même sur quelques mètres
- difficulté voire incapacité à effectuer les tâches du quotidien (mettre ses chaussures, faire le ménage, jouer avec ses enfants...)
- souffle coupé lors des mouvements, accentué s'il y a du vent.

- Impact social/relationnel :

- difficulté puis incapacité à avoir une activité professionnelle (poste aménagé au début puis arrêt complet en fonction de l'état de santé)
 - perte de vie sociale car le patient se déplace difficilement, honte d'être vu avec un dispositif d'oxygénothérapie,
 - le patient se replie sur lui-même, dépression fréquente, peur de tout, peur d'être malade.
- Le COVID a eu un impact encore plus négatif avec des patients qui se sont coupés du monde pour ne pas l'attraper.

- Impact financier important car perte de salaire avec les arrêts maladies ou l'arrêt de l'activité professionnelle. L'allocation pour adulte handicapé ne compense pas le salaire perdu.

- L'équilibre familial est mis à mal. Le patient participe de moins en moins aux tâches quotidiennes. Il n'invite plus, n'accepte plus les invitations extérieures. S'occuper de ses enfants devient de plus en plus difficile voire impossible (jeux, se promener, les habiller, leur donner à manger...)

Le conjoint devient vite un aidant avec toutes les difficultés et la fatigue que cela incombe.

La nécessité d'une aide pour la vie quotidienne reste indispensable surtout pour les personnes qui sont seules.

Les patients avec une atteinte pulmonaire sévère n'ont plus de relation sexuelle parce qu'ils n'en ont plus la force ni le souffle et parce que cela peut provoquer une syncope.

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

Tant que le patient n'est pas sous oxygène, l'entourage a du mal à comprendre sa maladie et ses difficultés ce qui accentue le mal être de celui-ci.

Cette maladie étant génétique, elle occasionne un stress au niveau de la famille qui peut être également touchée par celle-ci.

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

Pour le conjoint et les enfants vivants sous le même toit, le quotidien est affecté et doit être réorganisé, le stress est important quant à l'avenir du patient. Les projets à moyen et long terme sont écartés ce qui rend l'équilibre familiale difficile. Le conjoint qui devient aidant par la force des choses doit tout gérer ce qui occasionne stress, fatigue voire dépression.

Pour les couples où les patients sont plus jeunes, les projets d'enfants sont une difficulté car ils ne peuvent se projeter dans l'avenir (décès prématuré du patient, charge de travail trop lourde avec en plus l'arrivée d'un enfant...)

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 ?

- Arrêt du tabac s'il y a lieu (actif et passif)
 - séances de kiné
 - réhabilitation à l'effort pour ralentir le déclin de la capacité respiratoire
 - suivi psychologique
 - suivi pluridisciplinaire (pneumologie, hépatologie au minimum)
 - Thérapeutique habituelle pour insuffisance respiratoire lors des épisodes infectieux voire traitement antibiothérapie de fond.
- Administration d'alpha-1 antitrypsine par perfusion dès que possible lors d'un emphysème et selon les critères d'inclusion soit VEMS en dessous de 70%
- Cette thérapeutique déjà existante avec 3 médicaments sur le marché en France (Alfalastin, Respreeza et Prolastin) permet de ralentir voire stabiliser quelque temps l'emphysème chez le patient DAAT. Il a été constaté moins d'épisodes infectieux avec ces médicaments. Ces avantages permettent de reculer voire d'empêcher la nécessité d'une transplantation pulmonaire. Les effets indésirables sont principalement des céphalées lors de l'administration ou les heures qui suivent, frissons, fatigue
- Médicaments à retirer en pharmacie hospitalière ce qui peut être compliqué pour les patients
- Administration par perfusion hebdomadaire à domicile (1^{ère} perfusion en milieu hospitalier sous surveillance)
- Problèmes récurrents d'approvisionnement occasionnant des switches entre produits voire rupture de traitement.
- Possibilité de prestataires pour amener le matériel médical et aller chercher le produit à l'hôpital
- Contrôle
- Perfusion hebdomadaire qui peut être compliquée pour ceux qui sont encore en activité ou lors des vacances.
- Auto administration envisagée avec le Respreeza qu'il faudrait étendre à toutes les spécialités.

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

A l'heure actuelle, 3 médicaments permettant une augmentation d'AAT par perfusion sont disponibles en France. Toutefois, ces médicaments issus du plasma humain rencontrent depuis plus de 6 ans de graves problèmes d'approvisionnement laissant parfois les patients sans médicaments.

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

Le laboratoire LFB qui fabrique l'Alfalastin ayant rencontré de grandes difficultés depuis quelques années dans sa production ne permettait plus de traiter tous les patients.

En 2016, l'arrivée de CSL Behring avec son Respreeza laissait entrevoir une amélioration mais des difficultés de production ont aussi montré que l'approvisionnement en médicaments issus du plasma était très fragile.

En 2021 Grifols arrivait avec le Prolastin.

Malgré la présence de 3 laboratoires, les patients vivent encore des tensions de médicaments qui obligent les médecins prescripteurs et pharmaciens hospitaliers à switcher d'un médicament à l'autre.

Afin de garantir au mieux le traitement aux patients déjà en cours de traitement, l'initiation de nouveaux patients diagnostiqués est régulièrement difficile voire impossible.

Les patients attendent une pérennité de l'approvisionnement de leur traitement d'AAT et espèrent que l'arrivée du laboratoire Takeda avec le RYMPHYSIA sur le marché français permettra de trouver enfin une stabilité.

Les nouveaux patients diagnostiqués pourront également commencer au plus vite le traitement d'AAT grâce à la disponibilité de 4 médicaments.

Si un des laboratoires rencontre un problème d'approvisionnement, la présence des 3 autres spécialités devrait permettre de ne pas impacter les patients.

A savoir que lors de l'épisode de rupture des spécialités pendant plusieurs mois, les patients ont vu leur VEMS chuter, l'augmentation d'infections pulmonaires voire la nécessité d'hospitalisation.

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?

Pas encore sur le marché français

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 ?

Le RYMPHYSIA est une alpha-1 antitrypsine tout comme l'Alfalastin, le Respreeza et le Prolastin déjà commercialisées en France.

Il est commercialisé depuis de nombreuses années dans d'autres pays et les études et retours de patients par le biais des associations internationales font états des mêmes bénéfices que ceux déjà présents en France.

La commercialisation de RYMPHYSIA en France permettra de mieux répondre aux besoins des patients.

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

5. Information supplémentaire

Communiquer toute information supplémentaire pouvant aider les membres de la commission dans leur évaluation.

A l'heure actuelle où le COVID a rendu la collecte de plasma difficile dans le monde, les laboratoires font état de manque de cette matière première pour la fabrication des médicaments issus du plasma. Nous allons vivre de grandes difficultés d'approvisionnement de médicaments tels que le Respreeza et le Prolastin selon les deux laboratoires concernés.

L'arrivée d'un quatrième laboratoire permettra de limiter l'impact de tensions fortes voire de rupture de certaines spécialités.

Malgré 3 spécialités en France, nous continuons à observer des tensions fortes obligeant le switch de spécialités ce qui peut poser des problèmes de matériel non adapté au nouveau produit, d'intolérance de certaines spécialités avec des effets secondaires plus marqués.

Des situations qui provoquent un stress important chez les patients et des difficultés de récupération des médicaments.

Nous espérons que l'arrivée de RYMPHYSIA permettra aux patients de ne plus vivre ces situations anxiogènes.

6. Synthèse de votre contribution

Les thérapeutiques d'alpha-1 antitrypsine par perfusion sont indispensables pour les patients atteints d'un DAAT avec atteinte pulmonaire car elles permettent de diminuer les infections pulmonaires, de stabiliser ou ralentir l'emphysème ce qui fait reculer (voire évite) le besoin d'une oxygénothérapie et d'une transplantation pulmonaire.

Il permet donc de ralentir le déclin de la capacité respiratoire qui entraîne de nombreuses difficultés dans le quotidien des patients (se doucher, se déplacer, jouer avec ses enfants, faire ses lacets...), l'arrêt d'une activité professionnelle et la limitation de la vie sociale.

Ces médicaments permettent aux patients de ne pas avoir un VEMS qui décline trop vite et donc d'avoir une meilleure espérance de vie.

Les 3 spécialités en vente en France (Alfalastin, Respreeza et Prolastin) rencontrent régulièrement des fortes tensions voire ruptures d'approvisionnement.

L'arrêt du traitement entraîne une baisse plus rapide du VEMS et augmente les infections pulmonaires et entraîne une atteinte pulmonaire de plus en plus sévère conduisant à la nécessité d'une transplantation pulmonaire.

L'arrivée de RYMPHYSIA, 4^{ème} alpha-1 antitrypsine sur le marché français permettrait d'éviter ces tensions d'approvisionnement et de leurs impacts sur les patients.

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.