

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 : FLUCORTAC 100 µg/ml solution buvable -
Indication(s) du médicament concernées :
Hypotension orthostatique neurogène dans l'atrophie multi-systématisée (AMS)**

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 ARAMISE : chez Mr Vairon 23 rue des Vignerons - 45380 La Chapelle Saint-Mesmin
www.ams-aramise.fr

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).

- Témoignages de patients
- Eléments issus d'échanges avec les neurologues du Centre de Référence Maladies Rares de l'AMS à Toulouse et Bordeaux

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

- éléments de connaissance/compréhension : Pr Anne Pavy-Le Traon, neurologue, spécialiste de l'hypotension orthostatique neurogène au CRMR-AMS à Toulouse,
- rédaction : Catherine Mallevaës-Kergoat, présidente d'Aramise, ex-aidante d'un patient AMS

2. Impact de la maladie / état de santé

L'AMS est une maladie neurodégénérative, « méchante cousine du Parkinson ». Il s'agit d'une synucléinopathie qui touche à la fois les cellules nerveuses et les cellules gliales sur l'ensemble du système nerveux. Le pronostic vital est réduit à 7 ans de survie moyenne après le diagnostic et/ou l'apparition des symptômes moteurs.

L'hypotension orthostatique liée à l'atteinte du système nerveux autonome est l'un des tout premiers symptômes de l'AMS.

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

Très spécifique de l'AMS, elle en constitue, avec la dysphagie, par la précocité de son apparition, un des « drapeaux rouges » qui contribuent à sa difficile différenciation d'avec la maladie de Parkinson.

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 ?

La quasi-totalité des troubles cités ci-dessous en exemple se manifestent dans l'AMS dont les symptômes, en fin de vie, s'apparentent à ceux, mieux connus ou médiatisés, de la maladie de Charcot :

Symptômes les plus importants à contrôler : difficultés motrices, fatigue, incontinence, dysphagie, dysarthrie,

- Impact fonctionnel : incapacité/difficulté à effectuer les activités de base : marcher, faire sa toilette, s'habiller, prendre ses repas, communiquer oralement,
- Impact social/relationnel : perte de confiance, difficultés relationnelles,
- Nécessité d'une aide pour la vie quotidienne avec une charge de plus en plus lourde pour l'aidant(e), nécessité d'une aide professionnelle au lever, coucher, toilette, repas
- Equilibre familial
- Relation intime, troubles sexuels

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

Voir ci-dessus et ci-dessous

Par exemple :

- Effets émotionnels/ psychologiques, fatigue, stress, dépression, difficultés physiques
- Equilibre familial
- Relation intime, vie sexuelle

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 ?

- Evaluer l'efficacité des thérapeutiques n'est pas du ressort de l'association.
- L'hypotension orthostatique en question dans ce questionnaire fait l'objet de prescriptions par les neurologues de :
 - Gutron
 - Fludrocortisone
- Un certain nombre de patients qui ont participé à l'essai clinique DOPS-AMS ou pour lesquels les prescriptions ci-dessus sont insuffisantes bénéficient en ATU d'une prescription de DROXIDOPA (L-Threo DOPS).
L'essai clinique DOPS-AMS (financement PHRC) mené en France sous la responsabilité du Pr Anne Pavy-Le Traon au Centre de référence de l'AMS se termine. Ses conclusions devraient être publiées dans les mois qui viennent.

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

● L'innovation récemment présentée à Lausanne d'un stimulateur électronique de la moelle épinière a suscité beaucoup d'intérêt chez les malades, mais la mise en œuvre de cette technique dans une maladie neurodégénérative pose beaucoup de questions, d'après les spécialistes que notre association a interrogés.

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

Une efficacité la meilleure possible dans le contrôle de l'HO et des troubles associés

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?

- La fludrocortisone fait partie des médicaments habituellement et régulièrement prescrits contre l'hypotension orthostatique par les neurologues qui savent en évaluer les effets chez leurs patients
- Les piluliers des patients AMS sont abondamment garnis de comprimés et gélules, la forme « buvable » serait peut-être une alternative intéressante dans cette pathologie où les problèmes de déglutition sont très lourds.

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

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

6. Synthèse de votre contribution

- La fludrocortisone est régulièrement prescrite dans l'AMS, une maladie neuro-dégénérative, synucléinopathie sans traitement de fond, qui touche en France 3500 à 5000 personnes et qui engage le pronostic vital à 7 ans de survie en moyenne après le diagnostic.
- L'hypotension orthostatique neurogène est l'un des symptômes les plus précoces, les plus fréquents et les plus invalidants dans cette pathologie.
- La fludrocortisone buvable serait peut-être une forme galénique intéressante dans une maladie où les problèmes de déglutition sont très lourds

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.