

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 (fludrocortisone)
Indication(s) du médicament concerné : Nouveau médicament dans le traitement substitutif en cas de déficit en minéralocorticoïdes dans l'insuffisance surrénalienne primaire et l'hyperplasie congénitale des surrénales avec perte de sel dans toutes les catégories d'âge, ainsi que de l'hypotension orthostatique sévère.

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 Surrénales - 9 A rue Charles Poisot - 21300 Chenôve

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).

Nous avons sollicité notre responsable entité Hyperplasie Congénitale des Surrénales qui est à l'écoute de nos adhérents concernés par cette pathologie et donc est le point central de toutes les remontées de nos adhérents sur ce point. Notre cohorte d'adhérents concernés par cette pathologie est de 277 personnes.

Nous avons lancé une enquête auprès de nos adhérents pour connaître les dosages prescrits par les pédiatres endocrinologues ainsi que les conditionnements qu'ils obtenaient de la part de la pharmacie.

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

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

Notre responsable Hyperplasie congénitale des surrénales qui est également notre ancienne présidente.

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'hyperplasie congénitale des surrénales dans sa forme classique est diagnostiquée à la naissance avec le dépistage néonatal systématique. C'est une maladie génétique à transmission autosomique récessive qui se caractérise par l'absence de production de 2 hormones vitales : le cortisol et l'aldostérone. L'aldostérone est remplacée par la fludrocortisone. Il est administré plusieurs fois par jour dès le résultat positif connu, environ une semaine de jours.

C'est une hormone vitale dont l'absence peut engager le pronostic vital.

C'est d'ailleurs ce risque de décompensation de la maladie qui provoque des angoisses aux parents lorsqu'ils doivent confier leur enfant à une tierce personne.

Dans les 1ères années de vie, il y a des visites régulières à l'hôpital pour équilibrer le traitement

Lorsque les parents travaillent, le bébé est confié à une assistante maternelle qui doit donner le traitement.

Quelquefois, dans l'impossibilité d'en trouver une qui accepte de prendre en charge un bébé avec un traitement vital à donner plusieurs fois par jour, ils confient l'enfant à une crèche.

A l'école, malgré l'existence du PAI, certains directeurs d'école refusent la responsabilité de donner le traitement et les parents doivent se déplacer ou demander à une infirmière de passer à l'école pour l'administrer.

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

La crise insuffisance surrénale aiguë qui peut arriver si le traitement substitutif n'est pas correctement administré ou n'a pas été adapté aux circonstances reste une angoisse pour les parents principalement lorsque l'enfant ne sait pas encore s'exprimer.

Dans les premiers mois de vie, certains parents s'isolent et évitent toute vie sociale.

Lors de sorties scolaires, souvent la maman prend une journée de congé pour l'accompagner.

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 ?

Pour les enfants, il n'y a pas de thérapeutique adaptée.

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

Les doses prescrites varient entre 13 et 38 µg. Or il n'existe que des comprimés de 50 µg sécables disponibles en pharmacie de ville ou des comprimés de fludrocortisone AP-HP 10 µg disponibles dans les pharmacies hospitalières dont les horaires d'ouverture obligent les parents à prendre du temps à leur travail pour aller les chercher chaque mois.

Il y a eu de 2019 à 2021 des soucis de date de péremption qui étaient dépassées et régulièrement reculées tous les 3 mois. Les parents étaient très inquiets.

La plupart des parents font préparer des gélules par leur pharmacie habituelle avec le dosage prescrit par le pédiatre. Souvent, la préparation est sous traitée. L'étiquetage des préparations magistrales, quand il y en a, est rarement conforme au décret de 2012. La notice d'information est rarement fournie ce qui fait que les parents n'ont pas d'information sur la formule concernant les excipients comme ils pourraient en avoir avec la notice jointe à tous les médicaments achetés en pharmacie de ville.

Les dates de péremption sur les boîtes de gélules diffèrent d'une pharmacie à l'autre. Nous nous demandons si des études de stabilité ont été faites pour l'indiquer.

Des parents ont relaté que leur bébé avait eu des doses de fludrocortisone excessives du fait des dosages inadaptés des médicaments actuels adultes avec pour conséquence potentiellement grave une hypertension artérielle très élevée et une rénine effondrée.

La présence dans les préparations magistrales de lactose pédiatrique peut entraîner des caries précoces en plus des problèmes d'intolérance.

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

Les patients attendent une galénique adaptée à toutes les prescriptions et disponible dans les pharmacies de ville.

Comme pour les médicaments pédiatriques existant pour d'autres maladies, la forme buvable peut être administrée dès la naissance.

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 ?

Ce médicament étant vital et le dosage pouvant changer surtout dans la petite enfance suivant les résultats d'analyses effectuées à chaque visite dans le centre de référence ou de compétence, une forme buvable avec une pipette graduée permettra d'avoir un médicament pédiatrique adapté à tous les âges.

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 ?

La fludrocortisone est prescrite à tous les insuffisants surrénaliens primaires, ce qui ne pose pas de problèmes pour les adultes ayant à leur disposition le Flucortac sous forme de comprimé. Ce sera le 1^{er} médicament pédiatrique de fludrocortisone pour l'hyperplasie congénitale des surrénales.

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

5. Information supplémentaire

6. Synthèse de votre contribution

Listez les points les plus importants de votre contribution. Ils sont susceptibles d'être rappelés oralement lors de la séance de la commission.

- 1er médicament pédiatrique sous forme liquide
- La galénique est adaptée dès la naissance
- Amélioration de la prise en charge avec un dosage précis, ce qui permettra une plus grande confiance des médecins et des malades.

(...)

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.