

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 : **SOMATROGON (NGENLA)**

Indication du médicament concerné : Nouveau médicament dans le traitement de l'enfant et de l'adolescent âgé de 3 ans et plus présentant un trouble de la croissance dû à une sécrétion insuffisante d'hormone de croissance

Nom et adresse de l'association : **GRANDIR association des parents d'enfants ayant des problèmes de croissance**
24 rue Hector Gonsalphe Fontaine 92600 Asnières sur Seine

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Nous avons adressé par mail le questionnaire de la HAS (remanié pour qu'il soit compréhensible par les parents et adapté à l'évaluation demandée) aux adhérents (et anciens adhérents) de l'association GRANDIR.

Le recueil des questionnaires s'est étalé sur le mois de mai 2022. Au total nous avons pu exploiter 39 questionnaires écrits. Nous avons pu également interroger en direct les adhérents lors de notre réunion nationale à l'aide de questionnaires proposés aux parents d'enfants traités mais aussi à des adultes ayant été traités dans leur enfance. Nous avons interrogé également des adolescents soit un total de 50 personnes supplémentaires.

Nous avons donc pu récolter le témoignage de personnes qui ont reçu ou reçoivent encore le traitement par hormone de croissance sous forme d'une injection quotidienne.

Les répondants sont des parents qui ont un enfant ou un adolescent traité ainsi que des adultes qui ont utilisé ce traitement dans leur enfance ou qui utilisent encore le traitement par hormone de croissance, même si nous avons bien compris que le traitement pour lequel nous soumettons la contribution de l'association GRANDIR est prévu actuellement dans l'indication « chez l'enfant ou l'adolescent âgé de trois ans et plus ».

Cette contribution a pu être produite grâce aux réponses des adhérents, la synthèse de ces réponses ayant été réalisée par la présidente Béatrice Demaret avec l'aide de plusieurs membres du conseil d'administration pour la relecture.

L'association n'a reçu aucune aide pour cette contribution.

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 ?

La petite taille occasionnée par un déficit en hormone de croissance peut être due à des pathologies multiples ou être idiopathique. Il s'agit la plupart du temps d'un dysfonctionnement de l'hypophyse, avec une difficulté de mise en évidence de la pathologie par le corps médical. Ce sont des pathologies rares, mal connues par de nombreux professionnels de premier recours, laissant les parents (et les enfants) dans une errance médicale, source d'angoisse. Les parents ne sont pas entendus dans de nombreux cas.

Lorsque le déficit en hormone de croissance est profond et associé à d'autres déficits endocriniens, il peut être à l'origine d'hypoglycémies sévères, sources d'angoisse pour les parents, sources potentielles de complications neurologiques si le traitement est trop tardif, les parents se trouvant confrontés à des situations d'urgence et d'hospitalisations en urgence, parfois itératives.

Les parents relatent des difficultés liées à la taille des enfants avec un impact fort sur la confiance en soi de l'enfant. Les moqueries excluent les enfants de certains groupes.

Les enfants sont stressés à l'idée d'aller à l'école, certains enseignants ne sont pas d'un grand soutien dans ce type de difficultés, ce qui engendre un sentiment d'injustice.

Les enfants de petite taille sont souvent maltraités « nain de jardin, la naine, la lilliputienne, quart de portion ».

Certains enfants gardent un comportement enfantin, en rapport avec leur petite taille, afin de surmonter leur sentiment d'infériorité.

Les enfants relatent aussi des difficultés pour les activités sportives, faire de vélo, s'habiller seul, etc.

Les filles petites disent que les autres les prennent pour des poupées, les enseignants vont jusqu'à proposer de laisser les enfants dans une classe de petits en tenant compte uniquement de la taille et non pas de l'âge civil de l'enfant !

On note des difficultés à la cantine (plateau « trop grand », aliments « trop hauts »), des difficultés pour porter des cartables disproportionnés à leur taille.

Les voitures également ne sont pas adaptées à la conduite par une personne de petite taille et les adaptations nécessaires sont coûteuses.

Il est souvent demandé de montrer une pièce d'identité pour prouver que l'on est majeur, les sarcasmes et les commentaires des personnes croisées dans la vie courante sont fréquents et dévalorisants. Bien souvent on s'adresse aux personnes de petite taille avec un ton paternaliste, avec tutoiement plus fréquent et on ne les prend pas au sérieux dans le domaine professionnel, sans compter le fait que certains métiers leur sont inaccessibles.

Choix des vêtements et chaussures réduits : à certains âges, cela peut être vraiment perçu comme une discrimination.

Des loisirs qui tiennent compte uniquement de la taille et non pas de l'âge ne sont pas accessibles à ces enfants et les empêchent de les pratiquer avec leurs camarades.

On note également une fatigabilité importante, des troubles du comportement alimentaire, des troubles de l'attention.

Le suivi de la maladie oblige à des consultations médicales fréquentes, des hospitalisations également avec absentéisme scolaire.

Quand le traitement par hormone de croissance est instauré, c'est un soulagement pour les parents et les enfants au prix de contraintes matérielles et pratiques lourdes : Nécessité d'anticiper les séjours à l'extérieur du domicile familial (chez les grands parents, chez les amis, et faire appel à une infirmière pour les injections hors domicile). Informer les enseignants de la maladie, certains enfants ne le veulent pas par peur d'être catalogués comme « différent ». Les voyages

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

scolaires sont à sécuriser (transport du traitement et administration de l'hormone de croissance). Certains doivent y renoncer, d'autant qu'il y a nécessité de transporter le médicament en glacière.

- Impact psychologique :

« Quelle que soit la qualité des moyens technologiques mis en œuvre, quelle que soit la qualité relationnelle avec les parents, la piqûre reste une agression physique ressentie par l'enfant et en soit difficilement acceptable. La répétition journalière reste ainsi la difficulté la plus lourde à accepter par l'enfant. Elle est la source majeure de lassitude et de rejet. Elle est aussi celle qui pèse le plus sur les parents. »

Le moment de l'injection quotidienne est très anxiogène. Toute la famille s'en retrouve affectée : l'enfant traité en premier lieu, les parents qui endossent le rôle de soignant et doivent s'imposer face à un enfant qui refuse le traitement et la fratrie qui peine à trouver sa place.

Exclusion de voyage avec l'école car « on ne peut pas priver le groupe de visite et mobiliser un adulte pour gérer la prise en charge en cas de souci ».

Impact social/relationnel : perte de confiance sur les capacités du jeune à l'école pour réaliser certaines tâches. Grosses baisses de moral et même déprime importante, n'arrive pas à avoir le même rythme que ses copains à l'école sur une journée (gros coups de fatigue).

Pas de sortie chez les copains avec nuitée, pas de centre de vacances ...

Le choix d'orientation sera restreint par rapport au rythme possible pour toute activité donc une vie professionnelle impactée.

Un suivi psychologique est parfois mis en place mais insuffisant la plupart du temps et difficile à trouver dans certaines régions.

- Relation intime, vie sexuelle : petite taille du sexe donc beaucoup d'inquiétude pour les relations sexuelles à venir, le plaisir personnel, de la partenaire, l'intimité et les blessures de la relation amoureuse.

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

L'équilibre familial peut être complètement perturbé, toutes les activités tournent autour de l'heure à laquelle doit se prendre le traitement. Baisse de moral et inquiétude pour tous les membres de la famille en raison de la pathologie et du traitement qui peut être mal accepté par l'enfant.

Relation intime, troubles sexuels : impact énorme, angoisse très forte des parents sur la possibilité de vivre une sexualité « normale » pour leur enfant. ***« Mon fils est suivi uniquement par des médecins femmes dont on voit que la sexualité masculine est le dernier de leur souci »***

Les parents et les enfants redoutent le traitement en raison des injections quotidiennes (ou 6j/7) en raison de la douleur ressentie lors de l'injection. En sachant que souvent l'hormone de croissance n'est pas le seul traitement à prendre en cas d'atteintes hypophysaires multiples. La récurrence des traitements est une marque de handicap du quotidien.

Il n'est pas simple de faire accepter une piqûre quotidienne à un jeune enfant sans qu'il comprenne encore réellement les enjeux.

L'équilibre familial, avec une croissance déséquilibrée au sein de la fratrie, entraîne des tensions entre frères et sœurs, et vis-à-vis de l'extérieur.

Il est évidemment très difficile de voir souffrir son enfant, exclu pour sa petite taille.

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

« Les nombreux rendez-vous médicaux demandent de la disponibilité. C'est un vrai parcours du combattant avant que la maladie soit reconnue. Trouver le médecin qui vous écoute vraiment et ne

vous dit pas que c'est normal d'être petit. Non ce n'est pas normal et la maladie génétique de notre fille le confirme.

Il faut s'arranger professionnellement pour se libérer, l'hôpital n'étant pas à côté. Les résultats des examens étant longs à obtenir, il faut s'armer de patience. Les différents examens sont parfois impressionnants et nous sommes admiratifs de notre fille pour sa patience et docilité. »

« La mise en place du traitement a été assez difficile les premières semaines et nous avons cru ne pas y arriver. Plaquer notre fille au sol pour lui faire les injections était un véritable crève-cœur pour nous comme pour elle. Par chance nous sommes allés voir un psychologue pour enfant qui nous a aidé à débloquer la situation et aujourd'hui notre rituel fonctionne.

Cela reste néanmoins une contrainte logistique qui oblige à une organisation sans faille. »

situation compliquée pour les enfants scolarisés en internat de semaine et les séjours à l'étranger, les départs en vacances, ne serait-ce que sur un week-end demande également une grande organisation.

« Nous avons eu beaucoup d'incompréhension de la maladie et de notre choix d'aller vers un traitement dans notre entourage. Cela a créé des tensions avec certains membres de notre famille qui ne comprennent pas pourquoi le fait d'être petit est problématique. C'est toujours plus facile d'avoir un point de vue lorsque l'on n'est pas concerné par la situation. Faire le choix de donner un traitement par hormone de croissance à son enfant est une grande responsabilité que l'on demande de prendre aux parents. On veut le meilleur pour son enfant et on espère que le bénéfice sera supérieur au risque et à la contrainte infligée »

Difficultés par rapport à son « petit » frère qui est déjà plus « grand ».

Retentissement sur l'entourage : fatigue, lassitude, grand stress au début du traitement, « moment redouté » de la piqûre, questionnement sur l'avenir, sur le bienfait d'un traitement au long cours.

Le rôle répétitif « d'infirmier » que les parents se voient attribuer complique la relation parents-enfants. La relation père-mère se trouve elle-même fortement perturbée et impacte l'équilibre psychologique familial (c'est une souffrance psychologique lourde pour les parents de voir leur enfant quotidiennement « agressé » et cela est néfaste à l'enfant).

Affronter au quotidien l'anxiété naturelle de la mère, l'agression de son enfant par la piqûre, constitue un stress important.

Les angoisses, le mal-être, le stress, répétés au quotidien, perturbent dangereusement l'équilibre familial.

- Pas de répit : chaque soir, il faut à nouveau affronter le moment de la piqûre

- Cela implique une vraie organisation pour maintenir une vie sociale normale. Tout doit être réfléchi en amont.

Effets psycho-émotionnels

L'attention est presque exclusivement tournée vers l'enfant faisant face à ses difficultés et qui a besoin de soutien important, déséquilibre familial par rapport à la fratrie.

Besoin d'y penser tous les jours sans jamais avoir d'oubli (importance de l'observance du traitement génératrice de pression psychologique).

C'est parfois difficile pour les proches de vivre avec la maladie, surtout avant qu'elle ne soit étiquetée et avant qu'un traitement soit mis en place.

Difficile pour la grande sœur d'avoir une petite sœur qui prend toute la place et accapare les parents.

Haute Autorité de Santé, septembre 2017.

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

Difficile pour le papa, qui cherche une faute, quitte à la rejeter sur la maman...

L'enfant handicapé requiert toute l'attention et le temps des parents, ou de la maman qui a accepté le statut d'accompagnant de l'enfant handicapé, allant ensuite jusqu'à en perdre son travail.

Le traitement apporte vraiment une lueur d'espoir qui enlève un peu cette culpabilité irrationnelle.

C'est usant de devoir expliquer aux personnes que l'on rencontre que, effectivement, votre enfant a une petite taille par rapport à ceux de son âge.

L'enfant malade attire à lui plus de regards et d'attention, causant la jalousie de la fratrie ou un sentiment de rejet vis-à-vis du frère/sœur malade. Et d'où le sentiment de culpabilité de l'enfant car son entourage est plus protecteur que la normale.

Relation intime complexe car puberté tardive et dévalorisation. Les relations demandent plus de temps et réclament une attention et une compréhension particulière pour le partenaire.

De tout cela en découle des effets émotionnels négatifs : angoisse, fatigue constante, dépression

3. Expérience avec les thérapeutiques actuelles autres que celles évaluées

3.1 Selon vous, quelles sont actuellement les avantages et inconvénients de l'injection quotidienne ?

Le traitement par hormone de croissance change la vie des enfants : retour à une vie normale, sur le plan social puis par la suite professionnel en permettant l'accès à la plupart des métiers souhaités.

L'injection quotidienne n'est certes pas un avantage mais une nécessité pour grandir et atteindre une taille acceptable.

« L'hormone de croissance, à partir de 10 ans, a changé ma vie. Aujourd'hui je vais bien. Je mesure 174cm et j'ai confiance en moi. J'ai une vie sociale normale, je fais des études et je n'ai plus peur d'un rejet à cause de ma taille. J'ai aussi une copine et une relation tout à fait normale avec elle ».

« Notre fille est traitée 7j/7, l'acceptation de la piqure quotidienne a été extrêmement compliquée. Elle disait au démarrage qu'elle préférerait ne pas vivre si elle devait choisir entre une piqure tous les jours ou être petite. Depuis que le traitement est accepté, les effets positifs sont motivants (elle rattrape son retard de croissance), ce qui la booste mais il y a aussi des moments de découragement qui sont liés à la répétition quotidienne du geste ».

La prise du traitement est extrêmement contraignante chaque jour.

Le produit doit être conservé au réfrigérateur et sorti uniquement au moment de l'injection. Tout déplacement doit donc être anticipé, l'improvisation n'est pas possible.

L'administration se fait par injection sous cutanée, c'est un geste douloureux surtout pour un enfant.

Les inconvénients : la logistique liée notamment au fait que le produit soit réfrigéré. Les injections quotidiennes qui demandent une organisation sans faille, il est compliqué de déléguer la piqure.

Impact de l'administration ; douleur quotidienne par rapport à la piqure, petits hématomes, boules au point de ponction.

« Nous mettons de la crème anesthésiante chaque soir à notre fille ce qui demande beaucoup d'anticipation mais nous évite les crises de larmes et la douleur du début. »

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

Forte pression : faire l'injection tous les jours est une obligation pour que le traitement soit efficace.

Chez les grands adolescents, on observe de la lassitude, du ras-le-bol des injections, un abandon du traitement à certaines périodes.

L'injection quotidienne rappelle chaque jour le problème de croissance. Certaines parties du corps deviennent plus sensibles et marquées.

Avantage : cela reproduit le rythme normal de production de l'hormone de croissance

Inconvénient : Lassitude de ne jamais pouvoir faire de pause (notamment pour les parents quand les enfants sont petits)

« Bénéficier d'un traitement aux hormones de croissance est une vraie chance pour notre fils. Pour autant il n'est pas évident pour lui, loin de là de se piquer tous les jours. Quand vous annoncez à un enfant qu'il va devoir se piquer tous les jours jusqu'à la fin de sa croissance, c'est un vrai choc. Il fait alors vite le calcul et comprend qu'il faudra qu'il se fasse plus de 3500 piqûres dans sa vie... Je suis époustoufflée tous les jours par son courage et sa résilience.

Souvent ça se passe de façon calme et puis parfois, on ne sait pas pourquoi, ça fait mal, Et que lui dire quand il nous dit qu'on ne peut pas comprendre, qu'on ne se pique pas tous les jours, nous ! Et c'est vrai, difficile de comprendre cette contrainte et ce rappel quotidien qu'on n'est pas tout à fait comme les autres... »

Beaucoup de choses seraient bien plus simples avec une seule injection par semaine, vu que les « vacances/ sorties scolaires » d'une semaine deviendraient plus réalisables.

En termes d'impacts financiers, c'est surtout les trajets en voiture pour cause d'oubli du dispositif à un endroit suite à un déplacement de quelques jours (week-ends) généralement et donc les frais d'essence.

- fréquence du traitement quotidien : difficultés à être régulier à l'adolescence,

3.2 Quelles sont les principales attentes des patients vis-à-vis de l'arrivée de l'hormone de croissance hebdomadaire ?

Les patients attendent la même efficacité qu'avec les injections journalières.

La principale attente du patient est le confort dans la gestion du traitement, la réduction de la douleur par rapport aux zones d'injection et ne plus avoir à y penser tous les jours.

Ce serait un énorme soulagement d'envisager ce traitement de cette nouvelle façon (hebdomadaire) Le traitement dure plusieurs années (ou à vie), ça changerait complètement la vie des patients concernés ! Vivement que cela soit possible !

les avantages :

La liberté de découcher ou de recevoir des copains et copines sans avoir à se cacher pour faire la piqûre, oublier pendant 6 jours qu'on a une pathologie et vivre normalement.

Ce traitement offrira plus de liberté et il sera beaucoup plus facile d'accepter ce geste médical une fois par semaine que tous les jours.

Pour avoir également été traitée personnellement aux hormones de croissance, j'ai un souvenir extrêmement lourd de ces piqûres quotidienne. Le fait de ramener ça à une fois par semaine faciliterait tellement la vie des enfants !

L'acceptation et l'observance seraient sans doute plus importantes.

Haute Autorité de Santé, septembre 2017.

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

Meilleure assiduité par le patient dans l'administration de son traitement, limitation des risques d'abandon du traitement car moins d'injections, donc moins de contraintes avec un grand soulagement psychologique pour l'enfant et les parents.

Retour à une vie sociale plus normale : soirées chez les amis, en famille, petits séjours en classe verte, situation en internat de semaine etc. et l'impression d'être « comme les autres ».

Pour l'enfant et pour toute sa famille, la fin du rituel quotidien de la piqûre serait un soulagement.

Plus de liberté dans le traitement, gain de temps dans la vie quotidienne et réduction des déchets de soins (coton, aiguilles, dispositif d'injection jetable).

Approvisionnement à la pharmacie sans doute simplifié, notamment pour les départs de longue durée.

Quand j'ai parlé à mon fils (12 ans) du mail que j'avais reçu et du questionnaire à remplir, il a été pris d'un super espoir. Il m'a dit de vite remplir le questionnaire.

Il m'a aussi dit ne pas comprendre comment on pouvait s'interroger sur l'intérêt de passer à des piqûres hebdomadaires au lieu de quotidiennes. Il m'a dit que forcément ce sont des gens qui ne se piquent pas tous les jours qui se posent cette question...

Quand je lui ai dit que cela pourrait prendre du temps, il m'a dit peu importe, il me reste tellement de piqûres à faire et d'années à me piquer que ce sera toujours ça de pris.

Arrêter de devoir y penser tous les jours, retrouver un petit peu de liberté perdue et ne pas appréhender de se piquer ou de se faire mal, voilà les avantages qu'il y voit.

Pour lui la question ne devrait même pas se poser !

Ce traitement est intéressant pour ceux qui sont phobiques des piqûres, ou sensibles à la douleur de celles-ci.

Ce nouveau traitement apporte de nombreuses améliorations pour le cadre de vie du patient :

- allègement du traitement par une seule piqûre au lieu de 7/semaine
- un traitement hebdomadaire inciterait davantage les parents à accepter la GH pour leur enfant
- Idem pour les jeunes adultes éprouvés par un traitement quotidien (+ ou – bien vécu à l'adolescence) et ne souhaitant pas poursuivre le traitement dans leur vie d'adulte alors qu'il serait utile.

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 ?

Nous avons peu de témoignage de patients ayant pu bénéficier d'un traitement hebdomadaire en dehors d'une famille qui a participé à l'étude européenne Pfizer Hormone de croissance hebdomadaire, dans sa Phase 2, avec son enfant à Prague : 1 jour et demi.

« Nous sommes convaincus que ce sera positif pour les personnes qui pourront en bénéficier. Ce sera un véritable progrès, confort de vie. »

6. Synthèse de votre contribution

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont l'errance médicale pour poser un diagnostic, les difficultés physiques et psychiques de l'enfant liées à la petite taille et le retentissement sur la fratrie et la famille.

Le fardeau du traitement qui consiste en un geste invasif quotidien (injections sous cutanées) est difficilement supportable pour les enfants et leurs parents.

La gestion de la logistique est souvent compliquée, impactant la vie personnelle, sociale, voire professionnelle des familles.

Le médicament hormone de croissance à délivrance hebdomadaire répond très fortement aux attentes des patients et de leur famille, et ce depuis des années. Il est également attendu avec impatience par les adultes.

En conclusion voici les réflexions d'un enfant de 12 ans à l'annonce du questionnaire à remplir par ses parents sur la contribution demandée :

« Je ne comprends pas comment on peut s'interroger sur l'intérêt de passer à des piqûres hebdomadaires au lieu de quotidiennes. Ce sont forcément des gens qui ne se piquent pas tous les jours qui se posent cette question... »

Pour moi la question ne devrait même pas se poser ! »

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.