

---

**QUESTIONNAIRE**

**Contribution à  
l'évaluation du  
guselkumab dans la  
rectocolite  
hémorragique**



# Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.

## Identité de l'association

AFA CROHN RCH France

Objet social : Information et accompagnement des malades de MICI (maladies inflammatoires chroniques de l'intestin) et leurs proches, soutien à la recherche, formation des professionnels de santé, communication et démocratie en santé liées aux MICI

Adresse postale : afa- 15 rue de la Forge Royale 75011 Paris

Site Internet : [afa.asso.fr](http://afa.asso.fr)

## Nature de la structure :

**X** Association agréée au niveau national

Membre de France Assos Santé, et de l'EFCCA (European Federation of Crohn and Colitis Association) au niveau européen

# Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : Tremfya

Dénomination commune internationale (DCI) : GUSELKUMAB

**Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :**

*Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.*

☒ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

# 1. Questionnaire – Partie A

## 1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

### 1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients

Environ 150 000 patients atteints en 2021 en France (Source SNDS)

Il existe un pic diagnostic entre 15 et 30 ans et après 60 ans

A l'heure actuelle, si la RCH est une maladie qui peut être maîtrisée dans un tiers des cas, MAIS une partie des malades résistent à tout traitement et risquent à terme des complications :

- Anémie : complication majeure, causée par les saignements et l'inflammation
- Thrombophlébites
- Colite sévère
  - ✓ Dilatation du côlon + état de choc
  - ✓ Traitement médical urgent ± colectomie
- Perforation : sur mégacôlon toxique
- Cancer du côlon : dépend des facteurs de risque suivants
  - ✓ Ancienneté et extension
  - ✓ Antécédents familiaux
  - ✓ Cholangite sclérosante primitive
  - ✓ Inflammation persistante
  - ✓ Pseudopolypes
  - ✓ Sténose colique

Les symptômes de la maladie sont des symptômes qui isolent. Douleurs abdominales, diarrhées sanglantes et fatigue rythment le quotidien des malades. Ces symptômes peuvent contraindre les patients à renoncer à nombre de déplacements et, dans les cas plus sévères, les confinent à l'isolement. La fatigue, le manque d'appétit, l'altération de l'état général qui accompagne souvent les poussées, requièrent par ailleurs des efforts considérables pour maintenir l'activité quotidienne la plus normale possible.

Enfin, le tabou de l'évocation en société de problèmes liés à la sphère intestinale demeure fort et s'assortit de la difficulté de vivre avec une maladie dont on ne peut pas guérir.

La RCH répond à des phases d'activité d'intensité et de fréquence variable, des « poussées », qui se traduisent chez le patient par une impossibilité d'organiser sa vie sociale sur le long terme. Si pour certains malades les poussées sont espacées de 2 ou 3 ans, d'autres souffrent en effet de poussées rapprochées et de longue durée dont les symptômes durent plusieurs semaines, quand ce n'est pas plusieurs mois. L'imprévisibilité des poussées (qui imposent de se rendre aux toilettes jusqu'à une

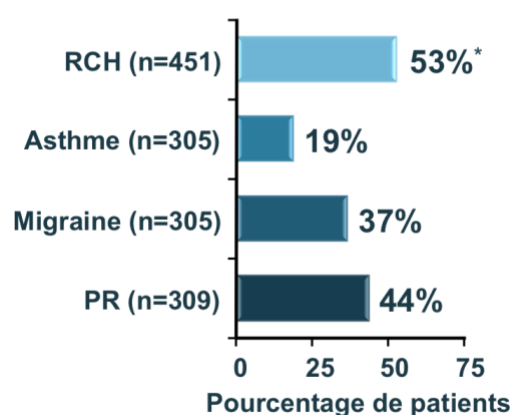
quinzaine de fois le jour comme la nuit), rend complexe toute planification de sortie, de voyage ou d'engagement dans une activité de groupe qui requiert assiduité et régularité dans sa pratique.

## MAUVAISE QUALITÉ DE VIE

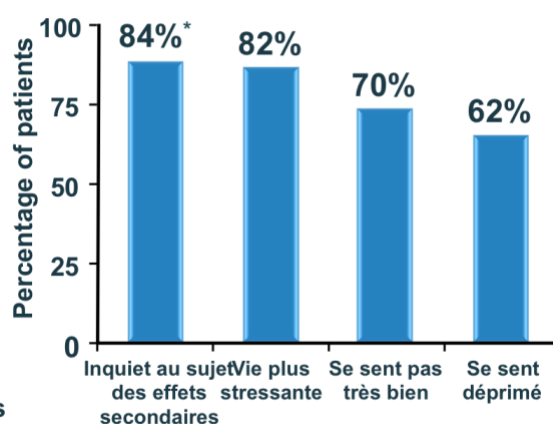
**La rectocolite hémorragique, qu'elle soit modérée ou sévère a un impact majeur sur la qualité de vie des patients.**

Ici, dans cette étude de 2010 la maladie impacte davantage les patients atteints de RCH, que ceux atteints d'asthme, de migraine, ou de polyarthrite rhumatoïde.

Proportion de patients qui pense que la maladie impacte leur vie



Impact psychologique de la RCH



\* $p < 0.05$  vs autres pathologies chroniques

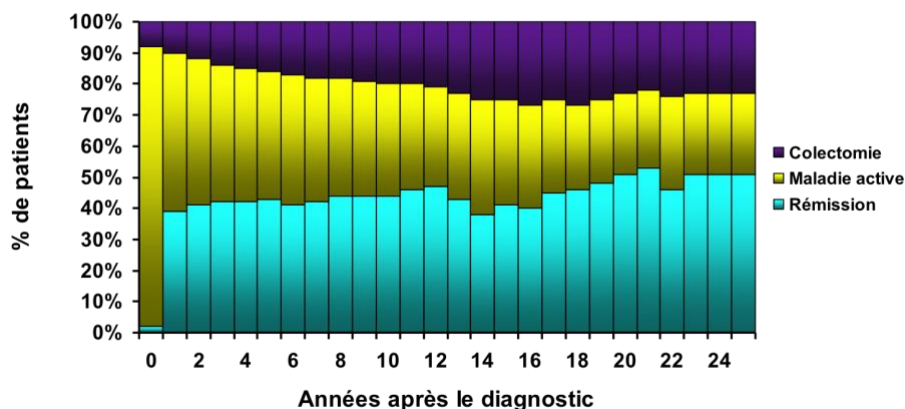
Rubin DT et al. *Dig Dis Sci.* 2010;55:1044–52

## UNE CHIRURGIE RADICALE ET CONSÉQUENTE

**La chirurgie reste fréquente, lourde et n'est pas sans conséquences.**

20 à 30% des patients auront une colectomie totale liée à l'évolution de leur maladie et à l'échappement des traitements.

## 20% à 30% des patients RCH ont une colectomie après 10 et 25 ans d'évolution



Langholz E et al. *Gastroenterology*. 1994

## Retour sur l'étude Regards Croisés dans laquelle de 1000 répondants étaient atteints de RCH



### ÉCHANTILLON



Patients MICI

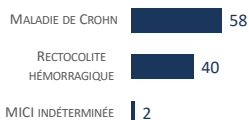
**2 582** personnes atteintes de maladies inflammatoires chroniques de l'intestin (MICI)



### DATES DE TERRAIN

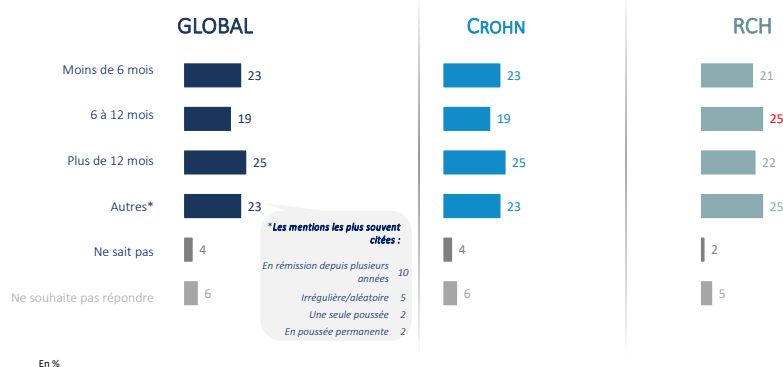
**Du 16 octobre au 23 novembre 2020.**

(pour rappel, le 2ème confinement en raison de la crise sanitaire a été instauré à partir du 30 octobre)



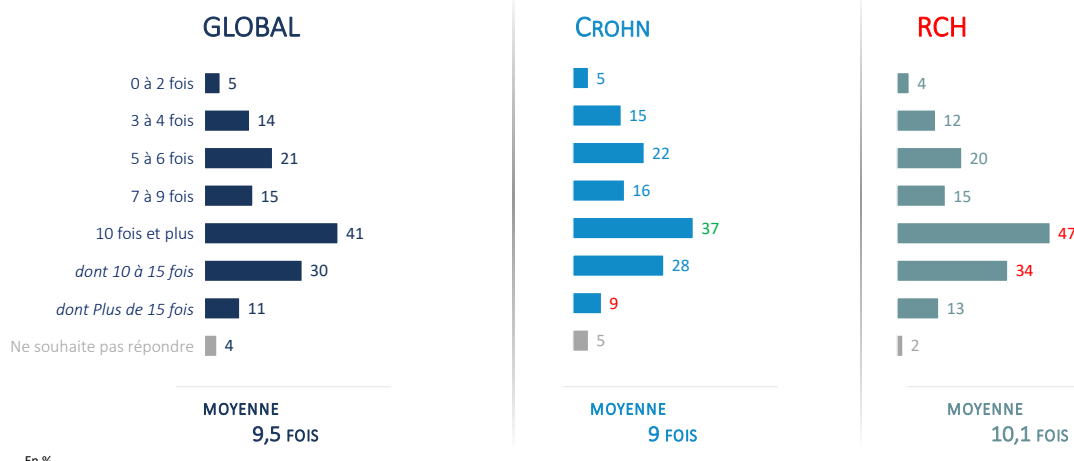
## La fréquence des phases de poussées

Q31. Quelle est approximativement la fréquence des poussées de votre maladie ?



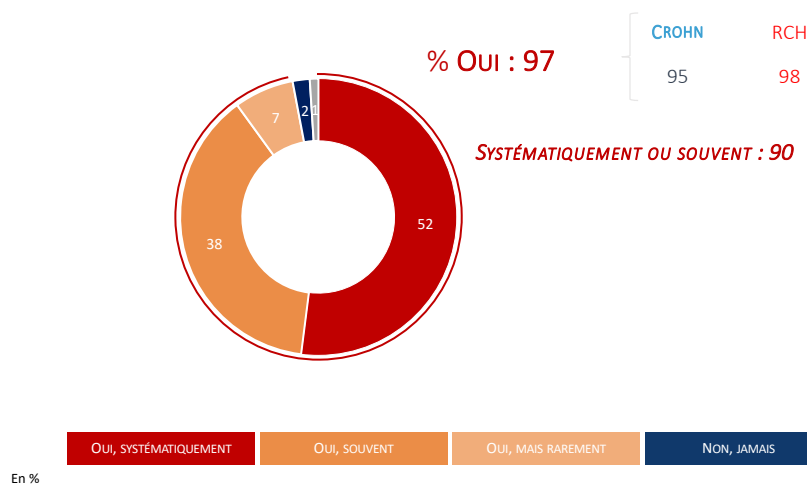
## La fréquence des selles en période de poussées

Q32. Lors des poussées, combien de fois par jour environ allez-vous aux toilettes ?



## L'impériosité des selles

Q33. Lorsque vous ressentez le besoin d'aller aux toilettes pendant les poussées, êtes-vous dans l'obligation de vous y rendre immédiatement ?



Q39. Au moyen des énoncés suivants, nous aimerions comprendre comment vous vous sentez dans votre quotidien, lorsque vous n'êtes pas en période de poussée et au contraire quand vous l'êtes. Pour chaque situation, veuillez dire si elle vous concerne souvent, parfois, jamais ?

### EN PÉRIODE DE POUSSÉE

### EN DEHORS DES PHASES DE POUSSÉE

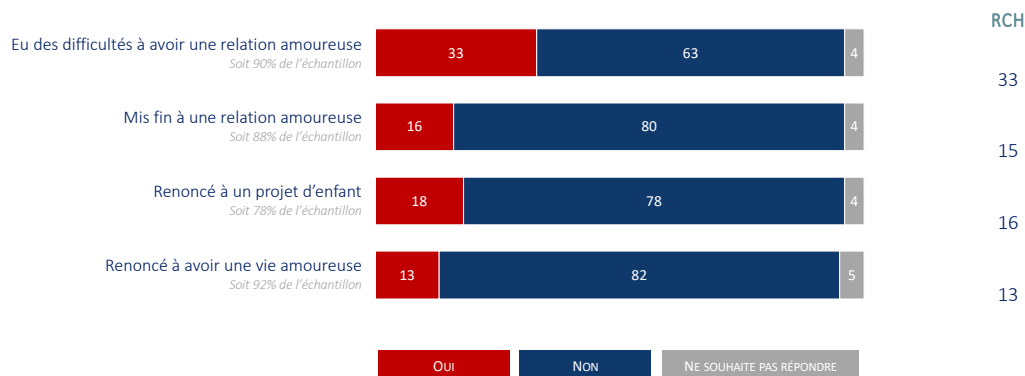
|                                                                | RCH       | RCH       |
|----------------------------------------------------------------|-----------|-----------|
| Je me sens fatigué(e)                                          | 96        | 87        |
| Je me fatigue facilement                                       | 94        | 78        |
| Physiquement, je ne me sens pas capable de faire grand-chose   | 92        | 56        |
| Je n'ai rien envie de faire                                    | 91        | 58        |
| Je redoute d'avoir des choses à faire                          | 90        | 50        |
| <b>% Rencontrent toutes ces situations souvent ou parfois:</b> | <b>82</b> | <b>33</b> |

En %

## L'impact de la maladie sur la vie sentimentale

Q49. Du fait de votre maladie, avez-vous ... ?

OUI



En %

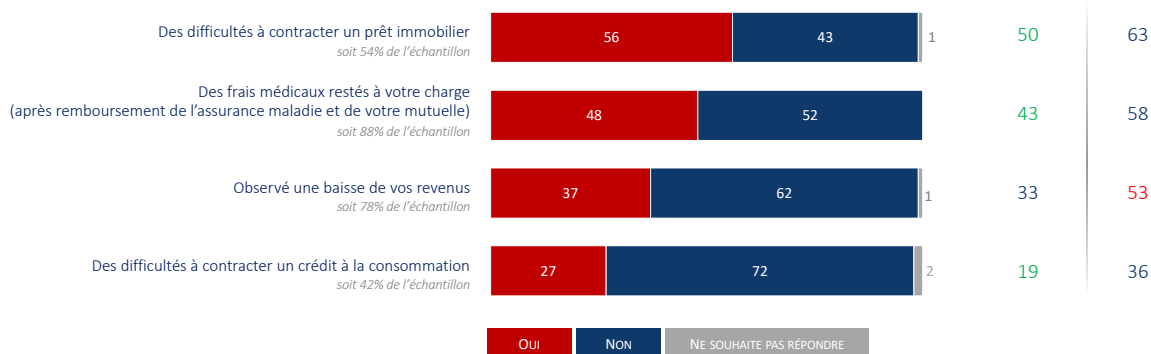
## L'impact de la maladie sur l'aspect financier

Q13. Du fait de votre maladie, vous avez .... ?

% Ont rencontré au moins une des ces situations: **65**

CROHN

RCH



En %

### 1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants

Les MICI de par les symptômes et les douleurs intenses du quotidien qu'elles provoquent ont tendance à faire peur et à faire fuir ceux qui ne sont pas directement concernés. Elles impactent donc le cercle relationnel des malades...surtout au début, quand la maladie se déclare.

Le plus souvent délaissés par leurs amis et la famille éloignée, les malades se recentrent sur leur entourage proche, plus solide, (plus disponible, plus impliqué) pour affronter la maladie. Il s'agit le plus souvent du conjoint, des parents, des frères et sœurs...

- Les proches apparaissent rongés par une réelle inquiétude pour le malade. Ils sont présents à la fois dans la gestion du quotidien mais aussi dans la projection future de la maladie...

Ils en deviennent parfois intrusifs (par rapport au malade qui ne l'accepte pas toujours), excessifs au risque de complètement s'oublier et de ne plus vivre que pour le malade.

« Je ne m'autorise jamais de moment à moi [...] j'ai perdu cette habitude de faire les choses seule et lui aussi du coup » (Épouse)

Constat paradoxal : malgré leur présence bénéfique (et nécessaire), les proches ne comprennent pas toujours ce que le malade traverse et en arrivent parfois, eux-aussi à minimiser les symptômes.

- Même si les patients s'interrogent également sur les causes de la maladie, les proches le formule systématiquement. Cette recherche du « pourquoi ? » entraîne chez certains proches un fort sentiment de culpabilité, surtout chez les parents.

Cette culpabilité s'incarne différemment en fonction des profils :

- les conjoints: En fais-je assez ? Comment soulager ?
- Les parents: Pourquoi mon enfant ? Suis-je responsable ? comment l'aider ?
- chez le malade: Comment ne pas trop faire subir ma maladie? Réduire au maximum l'impact sur les proches...
- Des proches en recherche d'informations et qui s'impliquent

Pour se rassurer mais aussi diffuser l'information au malade (qu'il l'ait demandé ou non), les proches recherchent des informations sur la maladie, l'évolution des recherches et des traitements ou encore sur l'alimentation.

- Ils s'impliquent dans le parcours de soins de leur proche malade. Une implication (ou du moins une présence) que certains professionnels de santé déplorent, empêchant dans certains cas, une totale liberté de parole entre patients et médecins.
- Des proches qui subissent également les conséquences de la maladie

Impactés dans leur quotidien par les souffrances du proche malade mais aussi dans leur parcours de vie (sur du court, moyen et long termes). Les proches (comme le malade) sont contraints de s'adapter sans cesse, allant parfois jusqu'à s'oublier, d'adapter leurs projets (familiaux et personnels).

- Des proches qui s'isolent et sont peu considérés: par leur propre entourage, par le corps médical qui suit leur proche malade mais aussi parfois par le malade lui-même.

C'est la sphère familiale proche qui est la plus impactée par la maladie:

- La vie de couple
- La gestion des enfants (quand c'est le parent qui souffre d'une MICI, mais aussi quand c'est l'enfant qui en souffre).

Etude Regards croisés sur les MICI – volet qualitatif – novembre 2020

## 1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)

L'arsenal thérapeutique de la rectocolite comporte des traitements à base de 5 asa, comprimés ou locaux pour le traitement des formes légères et des traitements systémiques s'adressant aux formes modérées à sévères : imurel, les anti-TNF $\alpha$  et les inhibiteurs d'interleukines (anti-IL12/IL23, anti-IL17, anti-récepteur de l'IL17 et anti-IL23), les anti Jak. Ces traitements n'entraînent pas la guérison définitive, mais permettent d'obtenir la disparition transitoire, plus ou moins complète des lésions et la stratégie thérapeutique est «rotationnelle » notamment en raison des phénomènes d'échappement

thérapeutique. Malgré cela, nous n'avons pas réussi à dépasser le taux d'efficacité dans les biothérapies de 50% de patients en rémission. Même si une majorité de patients se sentent soulagés avec une diminution des symptômes, seulement 1/3 atteindra la cicatrisation muqueuse et 1 patient sur 5 obtiendra une rémission profonde, complète.

Par conséquent, malgré l'arsenal thérapeutique disponible, le besoin thérapeutique reste partiellement couvert. Il persiste donc un besoin à disposer de nouveaux médicaments efficaces et bien tolérés compte tenu des phénomènes d'échappement, de contre-indications et d'intolérance ( Anti-Jak) .

## Références

Reenaers C, Louis E. Nouveautés dans la prise en charge des maladies inflammatoires chroniques intestinales [Advances in the management of inflammatory bowel diseases]. *Rev Med Liege*. 2022;77(5-6):323-329.

Raine T, Danese S. Breaking Through the Therapeutic Ceiling: What Will It Take?. *Gastroenterology*. 2022;162(5):1507-1511. doi:10.1053/j.gastro.2021.09.078

## 1.3. Le médicament évalué

### 1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

Aucun

### 1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)

### 1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

**Préambule :** Nous n'avons pas collecté d'expériences car nous n'en avons pas le temps ni les ressources. Nous sommes contraints d'envoyer des dossiers qui contextualisent la maladie, l'impact, les traitements ainsi que les besoins non couverts des patients mais ne sommes pas toujours en mesure d'interroger les patients. Ces derniers sont repérables via les cliniciens investigateurs que nous connaissons bien, mais le circuit est long entre le moment où certains investigateurs sont d'accord pour parler à leurs patients de la contribution, le délai de contact avec les patients et le moment où nous pouvons faire des entretiens. Par ailleurs nos ressources humaines sont contraintes, chaque permanent ou bénévole est déjà saturé par nos propres actions associatives.

Nous devons donc arbitrer sur les choix à faire entre nos actions de soutien, d'information et de recherche, versus les contributions HAS. Dans l'idéal, une personne ressource devrait être salariée en interne pour faire uniquement ce travail d'évaluation. Aujourd'hui nos priorités RH ne se situent pas là.

#### 1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation

**Quelles sont les principales améliorations attendues par rapport aux traitements actuels ?**

L'anti IL 23 constitue une nouvelle classe thérapeutique dans la RCH du fait de sa particularité de cibler la sous-unité p19 de l'IL-23 qui lui est spécifique et montre une bonne efficacité en même temps qu'une bonne tolérance. Or, une nouvelle classe de médicaments pour les patients = nouvelle chance pour les patients. Il est nécessaire de continuer à offrir tout l'arsenal thérapeutique possible à ces patients qui rappelons- le sont de plus en plus jeunes et de plus en plus nombreux à être diagnostiqués.

### **Le psoriasis : une maladie associée souvent à une maladie inflammatoire chronique de l'intestin.**

Dans le cadre d'une revue systématique et d'une méta-analyse publiées dans *JAMA Dermatology*, des chercheurs à Taïwan ont examiné les données de cinq études cas-témoins ou transversales et de quatre études de cohorte ayant inclus un total de près de 7,8 millions de participants à des études. Les résultats des études cas-témoins ont indiqué que les patients atteints de psoriasis avaient une probabilité accrue de développer la maladie de Crohn et une rectocolite hémorragique par rapport aux témoins. Les données probantes des études de cohorte ont montré que les patients atteints de psoriasis avaient un risque accru de maladie de Crohn et de rectocolite hémorragique .

Le Guselkumab est un médicament au nouveau mécanisme d'action traitant à la fois le psoriasis et la maladie intestinale.

#### Référence

Fu Y, Lee CH, Chi CC. Association of Psoriasis With Inflammatory Bowel Disease A Systematic Review and Meta-analysis. *JAMA Dermatol*. Published online October 24, 2018.  
doi:10.1001/jamadermatol.2018.3631

#### 1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

# Synthèse

- La rectocolite hémorragique est une maladie invalidante et a un impact aussi bien chez les malades que chez les proches.
- Il faut éviter à tout prix la colectomie totale qui en plus d'être mutilante ne guérit pas complètement la rectocolite hémorragique (selles nombreuses persistantes, pochte)
- Des médicaments existants efficaces dans les MICI, mais pas chez tout le monde. Il y a un plafond de verre des traitements actuels qui ne permet de soulager qu'un patient sur deux.
- Le Guselkumab permet d'offrir aujourd'hui aux malades un arsenal thérapeutique enrichi et donc d'avoir davantage de chances d'obtenir une rémission de la maladie. Objectif : atteindre la cicatrisation, éviter la cancérisation du côlon, retrouver une bonne qualité de vie
- Le Guselkumab est un traitement intéressant du point vue efficacité et tolérance dans l'association psoriasis/ MICI.

# Méthodes

## Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

**Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?**

Recherche de publications scientifiques

Résultats de différentes études initiées par l'afa : Regards croisés sur les MICI qualitative et quantitative ( 2020 et 2021 afa/ipsos)

**Selon quelles méthodes avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement ?**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

**Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?**

Anne Buisson, directrice

**L'association a-t-elle reçu des aides extérieures pour soutenir sa contribution ? Si oui, lesquelles ?**

Non

**Pouvez-vous nous donner une estimation du temps qui a été nécessaire pour rédiger cette contribution ?**

4h

**Avez-vous rencontré des difficultés pour remplir ce questionnaire, et si oui, lesquelles ?**

Voir préambule p.11

## Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

---

Retrouvez tous nos travaux sur  
[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)

---

