

Examen de l'ACMTS en vue d'un remboursement Gabarit de rétroaction des patients

Nom du médicament et indication : Veltassa - Hyperkaliémie

Nom du groupe de patients : La Fondation canadienne du rein

Auteure de la soumission : Lydia Lauder

Nom de la personne-ressource principale pour cette soumission : Lydia Lauder

Courriel : Lydia.Lauder@kidney.ca

1. Au sujet de votre groupe de patients

La Fondation canadienne du rein s'engage à favoriser une excellente santé rénale, une qualité de vie optimale et la découverte d'un traitement curatif pour les maladies rénales.

La Fondation canadienne du rein est l'organisme national bénévole qui s'emploie à éliminer le fardeau que représentent les maladies rénales :

- En finançant et en favorisant des recherches novatrices en vue de trouver de meilleures options thérapeutiques et un traitement curatif;
- En offrant des programmes éducatifs et de soutien afin de prévenir les maladies rénales chez les personnes à risque et de donner aux personnes qui en sont atteintes la capacité d'optimiser leur état de santé;
- En prônant un meilleur accès à des soins de santé de haute qualité;
- En sensibilisant davantage le public à l'importance de maintenir les reins en bonne santé et de consentir au don d'organes.

Pour en savoir plus, visitez www.rein.ca.

2. Collecte d'information

L'ACMTS souhaite obtenir les points de vue d'une vaste gamme de patients et de proches aidants pour cette soumission de la rétroaction des patientes et des patients. Veuillez décrire les moyens utilisés pour recueillir les points de vue : par exemple, des entrevues, des groupes de discussions, ou des questionnaires; des expériences personnelles; ou une combinaison de ceux-ci. Lorsque possible, veuillez inclure le moment où les observations ont été recueillies; si ces observations ont été recueillies au Canada ou ailleurs; le profil démographique des répondants; et le nombre de patients, de proches aidants et de personnes qui ont expérimenté le médicament à l'étude et ont fait part de leurs points de vue. Nous nous servirons de ces informations pour mieux comprendre le contexte des points de vue exprimés.

La rétroaction et les commentaires des patients ont été recueillis en octobre et en novembre 2020 par La Fondation canadienne du rein, dans les deux langues officielles, par le biais d'un questionnaire autoadministré auprès de personnes dans tout le Canada. Le questionnaire s'adressait aux personnes atteintes d'une maladie rénale chronique, ainsi qu'à leurs proches aidants, afin de s'enquérir des expériences vécues des répondants en matière de maladie rénale chronique et de médicaments, ainsi que de leurs attentes envers de nouveaux traitements médicamenteux au Canada. Le questionnaire comportait un certain nombre de questions portant spécifiquement sur le médicament à l'étude, le Veltassa. Les gens ont été informés du questionnaire par l'entremise des médias sociaux de La Fondation du rein (Twitter et Facebook), de même que du site Web et d'un bulletin électronique de La Fondation.

Au total, 33 personnes ont répondu au questionnaire, dont 15 l'ont rempli au complet et 18 partiellement. Neuf répondants se sont identifiés comme étant une personne atteinte d'une maladie rénale chronique, et cinq répondants comme étant le proche aidant d'une personne atteinte d'une maladie rénale chronique. Des treize personnes qui ont répondu à la question concernant leur âge actuel ou l'âge actuel de la personne dont elles prennent soin, une était âgée de moins de 14 ans, une était âgée de 25 à 39 ans, neuf étaient âgées de 55 à 69 ans et une était âgée de plus de 70 ans. Treize personnes ont répondu à la question portant sur la durée de vie avec une maladie rénale. Une personne a déclaré être atteinte d'une maladie rénale chronique depuis moins d'un an, une depuis 1 à 2 ans, deux depuis 3 à 5 ans, deux depuis 6 à 10 ans, deux depuis 11 à 20 ans et cinq ont déclaré vivre avec la maladie depuis plus de 20 ans.

3. Expérience de la maladie

L'ACMTS fait intervenir des experts cliniques dans chaque examen afin d'expliquer l'évolution de la maladie et les objectifs thérapeutiques. Ici, nous souhaitons comprendre la maladie du point de vue des patients. Veuillez décrire les impacts de la maladie dans la vie courante et la qualité de vie des patients et des proches aidants. Est-ce qu'il y a des aspects de la maladie qui sont plus importants à contrôler que d'autres?

La maladie rénale comprend une variété de maladies et de troubles qui affectent les reins. La plupart des maladies du rein s'attaquent aux néphrons et à leur capacité d'éliminer les déchets et l'excès de liquides. La maladie rénale est souvent associée à d'autres problèmes de santé, comme le diabète, l'hypertension artérielle et les maladies du cœur.

La maladie rénale chronique se caractérise par la présence de lésions aux reins, ou une dégradation de la fonction rénale pendant une période de trois mois et plus. Une maladie rénale peut être modérée à grave et dans certains cas, provoquer une défaillance des reins (parfois désignée sous le nom d'insuffisance rénale au stade terminal, IRT). Les symptômes d'une maladie rénale ne se manifestent généralement que lorsque les reins sont gravement endommagés. Lorsque les reins ne s'acquittent plus de leur tâche, les déchets s'accumulent dans le corps et des traitements de dialyse ou une transplantation d'un rein sont nécessaires pour survivre.

La dialyse est le traitement le plus courant pour l'insuffisance rénale, la greffe rénale étant une autre option. Il y a deux types de dialyse : la dialyse péritonéale et l'hémodialyse. Les Canadiens atteints d'insuffisance rénale et leurs familles font face à des dépenses considérables. Le fardeau est aggravé par la perte de revenus qui est souvent associée à l'amorce d'un traitement par dialyse. Il est important de noter que la pauvreté est un facteur déterminant de santé. Cela signifie que les patients

et leurs familles qui vivent dans la pauvreté pourraient ne pas être en mesure d'assurer une gestion optimale de leurs problèmes de santé.

Aux premiers stades d'une maladie rénale chronique, les stratégies d'autogestion comme des changements au mode de vie, la pratique d'activités physiques sur une base régulière, le maintien d'un poids santé, l'arrêt du tabac, la réduction du sodium, la prise en charge d'autres problèmes de santé et la prise de médicaments peuvent ralentir ou stopper les dommages causés aux reins.

Normalement, des reins en santé assurent un équilibre de la quantité adéquate de minéraux dans le corps, toutefois, si les reins ne fonctionnent pas correctement, les taux de potassium peuvent être trop élevés (hyperkaliémie, pour lesquels le médicament à l'étude est indiqué) ou trop bas (hypokaliémie). Certaines personnes aux premiers stades d'une maladie rénale chronique n'ont pas besoin de limiter leur consommation de potassium, tandis que d'autres pourraient devoir la limiter par le biais de restrictions alimentaires. Les personnes qui suivent une dialyse doivent habituellement limiter leur consommation de potassium afin d'éviter une hyperkaliémie entre les traitements. Ce régime alimentaire est très restrictif et nuit à la qualité de vie des patients atteints d'une maladie rénale chronique.

La plupart des répondants au questionnaire ont parlé négativement de leur expérience avec une maladie rénale chronique. Les répondants ont parlé de leur constante fatigue. Ils ont dit : « Deux ans et demi en dialyse, et maintenant 24 ans après une greffe », « Je travaille encore 44 ans plus tard, mais la fatigue et les problèmes de sommeil sont de gros problèmes depuis les 10 dernières années, mais je me sens encore bien », « Je me fatigue facilement », « État permanent d'épuisement, grande fatigue, peu d'énergie, difficulté à dormir ». « Elle nuit à mon taux d'énergie et à ma capacité de me motiver ».

Les proches aidants ont parlé des effets sur eux : « Lorsque j'ai terminé de prendre soin de mon conjoint, je suis trop fatiguée pour faire des activités comme voir mes amies ou aller dîner. Entre prendre soin de lui, la dialyse et les tâches ménagères, je suis épuisée », « J'ai des difficultés à le maintenir sur la bonne voie pour les médicaments, pour l'alimentation et pour la vie au quotidien! Il est toujours fatigué et il dort mal, il a beaucoup de douleur et de l'enflure dans certaines articulations. Il est déprimé. C'est triste, cela me brise le cœur ».

Certains répondants ont parlé de l'impact de la maladie rénale chronique dans leur vie quotidienne : « La maladie rénale chronique me touche et la maladie polykystique des reins touche considérablement ma conjointe et les membres de la famille », « De la greffe, au rejet, à 24 ans d'hémodialyse, je n'ai jamais abandonné! », « Imaginez recevoir le diagnostic à 20 ans et attendre que vos reins flanchent », « ne pas avoir d'enfants », « néphrectomie bilatérale », « fusion des vertèbres », « arthrose », « ne pas pouvoir poursuivre ma carrière professionnelle et bien plus encore ». « Je manque beaucoup d'école parce que je dois aller souvent à l'hôpital (le nom de l'hôpital a été retiré) ». « Ceci me rend très triste ». « Je déteste prendre autant de médicaments tous les jours ». « J'ai peur que mes cicatrices et mes vergetures ne disparaissent jamais ».

Plusieurs personnes atteintes d'une maladie rénale chronique sont aux prises avec d'autres problèmes de santé. Parmi les personnes qui ont répondu à cette question, 86 % ont déclaré souffrir d'hypertension artérielle, 72 % de taux élevés de potassium, 86 % ont déclaré de faibles taux d'hémoglobine et 93 % ont dit avoir de faibles taux de fer. 86 % ont aussi dit avoir eu des restrictions alimentaires dans le passé ou actuellement.

4. Expérience avec les traitements actuellement offerts

L'ACMTS examine les avantages cliniques et le rapport coût-efficacité de nouveaux médicaments et les compare à ceux des traitements actuellement offerts. Nous utilisons cette information pour évaluer la capacité du médicament à l'étude de combler des lacunes si les traitements actuels ne satisfont pas les patients et les proches aidants.

Veillez décrire dans quelle mesure les patients et les proches aidants réussissent à gérer leur maladie avec les traitements actuellement offerts (veuillez préciser les traitements). Tenez compte des avantages observés, des effets secondaires subis et de leur gestion. Tenez compte également des difficultés liées à l'accès au traitement (coût, déplacements à la clinique, absence du travail) et à la prise du traitement (comprimés à avaler, lignes de perfusion).

64% des répondants ont dit avoir des restrictions alimentaires actuellement et 22 % en ont eu dans le passé, mais plus maintenant pour un potassium élevé. 93 % des répondants ont indiqué suivre un régime alimentaire spécial pour gérer un taux de potassium élevé. 50 % des répondants ont pris des médicaments pour traiter un taux de potassium élevé. Quatre répondants ont pris du sulfonate de polystyrène de sodium, deux ont pris du sulfonate de polystyrène de calcium et trois ont pris du patiromer (Veltassa).

Une personne a indiqué être « satisfaite » du médicament qu'elle prend actuellement pour un taux de potassium élevé, deux ne sont « ni satisfaites, ni insatisfaites », trois sont « insatisfaites », tandis qu'une autre a indiqué ne prendre aucun médicament pour un potassium élevé. Les personnes qui ont répondu à la question visant à savoir ce qui leur plaît ou déplaît dans les médicaments qu'elles prennent pour un potassium élevé ont indiqué le goût, la fréquence et la constipation causée par les médicaments. Parmi les commentaires exprimés : « Je déteste le goût de Veltassa, je dois le mélanger à de la crème glacée pour le faire passer », « Goût et fréquence », « Rien ne me plaît dans le résonium de calcium, le goût est affreux et entraîne une terrible constipation » et « cause de la constipation ».

À la question sur les facteurs qui sont « très importants » ou « importants » lors du choix de médicaments pour une maladie rénale chronique en général, la majorité des répondants ont indiqué les facteurs suivants comme étant « très importants » ou « importants » : fatigue, perturbation du sommeil, enflure des pieds, effets sur l'humeur, interaction avec d'autres médicaments, changements dans l'appétit, coût et durée de la prise du médicament. Un répondant a déclaré que le changement dans l'appétit n'était ni important ni sans importance, deux ont déclaré que le coût n'était ni important ni sans importance et un a répondu que la durée de la prise du médicament n'était pas importante.

De plus, à la question sur les autres éléments importants à considérer lors du choix d'un médicament pour une maladie rénale, des répondants ont ajouté les effets secondaires, l'impact sur la santé, l'efficacité et les interactions avec d'autres médicaments. Un répondant a dit : « Un médicament qui n'ajoute pas au fardeau des autres symptômes ou qui n'augmente pas le risque de complications à long terme, qui réduit les symptômes, prolonge la vie et la QUALITÉ DE VIE ».

5. Résultats améliorés

L'ACMTS souhaite connaître les points de vue des patients relativement aux résultats dont nous devrions tenir compte lors de l'évaluation de nouveaux traitements. Quelles améliorations les patients et les proches aidants souhaitent-ils obtenir d'un nouveau traitement que les traitements actuels ne

sont pas en mesure d'offrir? En quoi la vie quotidienne et la qualité de vie des patients, des proches aidants et des familles seraient-elles différentes si le nouveau traitement peut fournir les améliorations souhaitées? De quels compromis les patients, les familles et les proches aidants doivent-ils tenir compte lors du choix d'un traitement?

À la question sur leurs attentes envers de nouveaux traitements pour la maladie rénale chronique, les répondants ont dit vouloir des traitements « peu coûteux, peu d'effets secondaires, et efficaces », « rendre la maladie plus vivable », « Je veux avoir les meilleurs médicaments qui sont offerts », « faciliter la vie avec une maladie rénale chronique », « être abordables », « pas d'impact négatif sur d'autres systèmes dans le corps », « médicament facile à prendre (fréquence et facilité) », « vivre plus longtemps » et « favoriser une bonne qualité de vie ».

6. Expérience avec le médicament à l'étude

L'ACMTS examinera attentivement la littérature scientifique et les études cliniques pertinentes. Nous voulons en savoir plus sur les expériences personnelles des patients avec le nouveau médicament. Ceci peut aider les évaluateurs à mieux comprendre dans quelle mesure le médicament à l'étude peut répondre aux besoins et aux préférences des patients, des proches aidants et des familles.

De quelle manière les patients ont-ils accès au médicament à l'étude (par exemple, essais cliniques, assurance privée)? Comparativement à tout autre traitement précédemment utilisé par les patients, quels ont été les avantages? Quels ont été les désavantages? Quel fut l'impact des avantages et des désavantages dans la vie des patients, des proches aidants et des familles? Tenez compte des effets secondaires, s'ils ont été tolérés ou comment ils ont été gérés. Est-ce que le médicament était plus facile à utiliser que les autres traitements précédents? Dans un tel cas, en quoi était-il plus facile? Existe-t-il des sous-groupes de patients dans cet état de maladie pour lesquels ce médicament est particulièrement utile? De quelles manières? S'il y a lieu, veuillez fournir la séquence des traitements que les patients ont suivie avant et après relativement au nouveau médicament à l'étude. Veuillez également inclure un résumé des valeurs clés qui sont importantes pour les patients et les proches aidants relativement au médicament à l'étude.

Trois répondants ont déclaré prendre du Veltassa maintenant. Aucun n'est passé d'un autre médicament et l'ordonnance était couverte par une assurance privée pour les trois. Deux répondants ont dit que leurs taux de potassium étaient meilleurs comparativement à avant de prendre le Veltassa. Un répondant a dit que sa fatigue ou faiblesse s'est améliorée, tandis que deux répondants ont déclaré que leur fatigue ou faiblesse s'est empirée. En ce qui concerne les nausées ou les vomissements, un répondant a dit qu'il y a eu une amélioration, un répondant a dit qu'il n'y a pas eu de changement et un autre a dit que c'était pire.

Un répondant a déclaré que sa difficulté à respirer est moins prononcée et deux ont dit qu'elle était à peu près la même. Un répondant a indiqué que l'enflure et l'œdème sont beaucoup mieux, un autre a dit que c'était mieux et un autre a dit que c'était pire. Enfin, un répondant a déclaré que les palpitations ou battements irréguliers du cœur sont beaucoup mieux, un a dit qu'ils étaient à peu près les mêmes et un autre a dit ne pas savoir.

7. Test diagnostique associé

Si le médicament à l'étude a un test diagnostique associé, veuillez commenter. Les tests diagnostiques associés (ou « compagnons ») sont des tests de laboratoire qui fournissent des renseignements essentiels pour l'usage sécuritaire et efficace de traitements médicamenteux particuliers. Ils sont utilisés pour détecter des biomarqueurs précis qui prédisent des réponses plus favorables à certains médicaments. En pratique, les tests diagnostiques associés peuvent établir si des patients sont susceptibles de tirer des avantages ou de subir des effets négatifs de certains traitements, ou suivre les réponses cliniques afin de guider les modifications à un traitement de manière optimale.

Quelles sont les expériences des patients et des proches aidants avec le test de biomarqueurs (test compagnon) relativement au médicament à l'étude?

Tenir compte de :

- Accès au test : par exemple, proximité de l'installation de test, disponibilité des rendez-vous.
- Test : par exemple, de quelle manière le test a-t-il été effectué? Est-ce que le test a retardé le début du traitement? Est-ce que le test a occasionné des effets indésirables?
- Coût du test : Qui a payé le test? Si le coût fut une dépense personnelle, quel est l'impact d'avoir eu à le payer? Est-ce que des frais de déplacement ont dû être engagés?
- Que ressentent les patients et les proches aidants au sujet du test : par exemple, comprendre pourquoi le test est effectué, faire face à de l'anxiété pendant l'attente des résultats, incertitude quant à la décision à prendre à la suite du résultat du test.

Cette question ne s'applique pas à cette soumission.

8. Autre chose?

Souhaitez-vous faire part aux évaluateurs de l'ACMTS ou au comité d'experts de tout autre élément spécifiquement lié à ce médicament à l'étude?

Les Canadiens atteints d'insuffisance rénale font face à d'importants défis financiers occasionnés par le traitement par dialyse. L'amorce de la dialyse entraîne souvent une diminution des revenus au même moment où les dépenses augmentent, notamment celles liées au transport pour suivre les traitements et les médicaments. La couverture et le soutien financier qu'offre le gouvernement aux personnes en dialyse varient, ce qui entraîne des inégalités d'une juridiction à l'autre. Les personnes atteintes d'insuffisance rénale tendent à faire partie d'une population où les revenus sont faibles et les coûts sont élevés. Pour parer au fardeau financier des personnes atteintes d'une maladie rénale et minimiser les disparités dans l'accès de ces personnes aux médicaments, il faut développer des mécanismes qui pourront compenser les coûts de manière équitable à l'échelle des juridictions.

Les personnes atteintes d'une maladie rénale chronique font face à des obstacles additionnels financiers et de santé lorsqu'elles sont aux prises avec des troubles comorbides, comme le diabète. Plusieurs personnes pourraient bénéficier d'un accès équitable et en temps opportun à des traitements efficaces et abordables. Veltassa peut aider les personnes à obtenir de meilleurs résultats de santé et à avoir une meilleure qualité de vie. Pour ces raisons, il devrait être une option offerte aux personnes atteintes d'une maladie rénale chronique.