

Enquête européenne sur les patients FSHD (2022)

Auteurs : Jordi Diaz-Manera and Megan McNiff (John Walton Muscular Dystrophy Research Centre, Newcastle University – Grande-Bretagne), Sheila Hawkins (présidente de FSHD Europe)

Financement : Facio Therapies, Roche, Fulcrum therapeutics

Traduction – résumé : Sylvie Genet (FSHD Europe et Groupe d'Intérêt FSH de l'AFM-Téléthon)



Résumé – conclusion

1147 patients de 26 pays d'Europe ont répondu à cette enquête lancée par FSHD Europe et analysée par l'Université de Newcastle (GB). L'enquête a permis de comprendre les préférences des patients de la communauté FSH et de leurs aidants. Elle a montré quels sont les symptômes qui inquiètent les patients, en priorité la faiblesse musculaire et la mobilité difficile. Elle a exploré également les attentes des patients concernant les essais cliniques, en particulier le besoin d'informations et de communication.

Ce qui motive le plus la participation à un essai clinique est l'accès à une nouvelle thérapie, l'accès aux résultats de l'essai et les bénéfices pour la communauté FSH. Les facteurs décourageants sont l'éloignement du lieu d'essai, le manque de transports pour y aller et la peur des effets secondaires.

La connaissance des résultats de cette étude devrait permettre aux industriels et chercheurs de concevoir des protocoles d'essais cliniques favorisant la participation des patients.

Nous remercions tous les patients qui ont répondu à cette enquête, sans qui cette publication n'aurait pas été possible.

1 - Introduction

Il n'y a actuellement aucun traitement pour la myopathie FSH (ou FSHD). Développer un traitement n'est pas aisé car il y a peu de patients et ils présentent des symptômes variables, donc la réalisation d'essais cliniques n'est pas facile, et peut nécessiter pour les patients de se déplacer dans des hôpitaux loin de chez eux.

Les laboratoires pharmaceutiques, de plus en plus nombreux à s'intéresser à la FSH, veulent connaître l'avis des patients, pour comprendre leurs besoins et pour concevoir les essais cliniques de façon à favoriser la participation des patients.

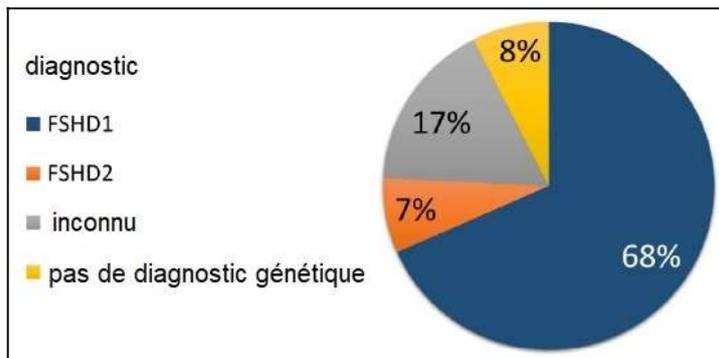
2 - L'enquête

L'objectif de l'enquête est de comprendre ce que les patients FSH ou leurs proches attendent d'un futur essai clinique et ce qui les encouragerait à participer.

FSHD Europe a confié la réalisation de cette étude au Centre de Recherche sur les dystrophies musculaires John Walton à l'Université de Newcastle (Grande-Bretagne).

L'enquête a été diffusée en ligne au printemps 2022 par FSHD Europe et ses membres (dont le Groupe d'Intérêt FSH de l'AFM-Téléthon).

1147 personnes de 26 pays ont répondu, dont 139 en France. 92 % étaient des patients et 8 % des proches aidants, la répartition hommes / femmes était de 50 / 50 et l'âge moyen de 50 ans.

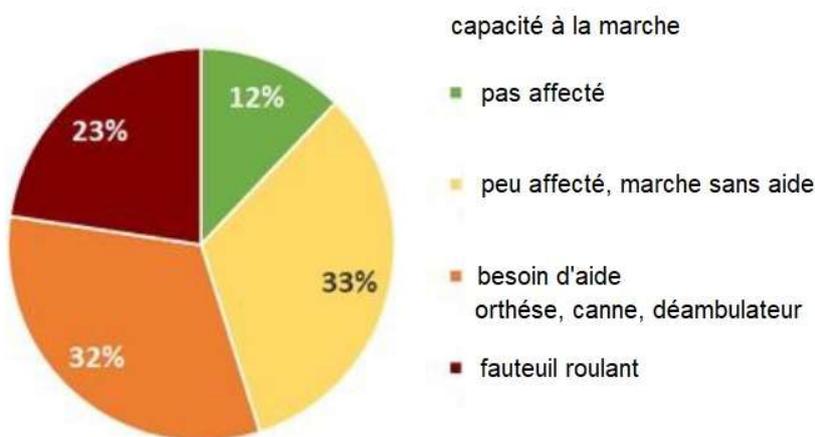
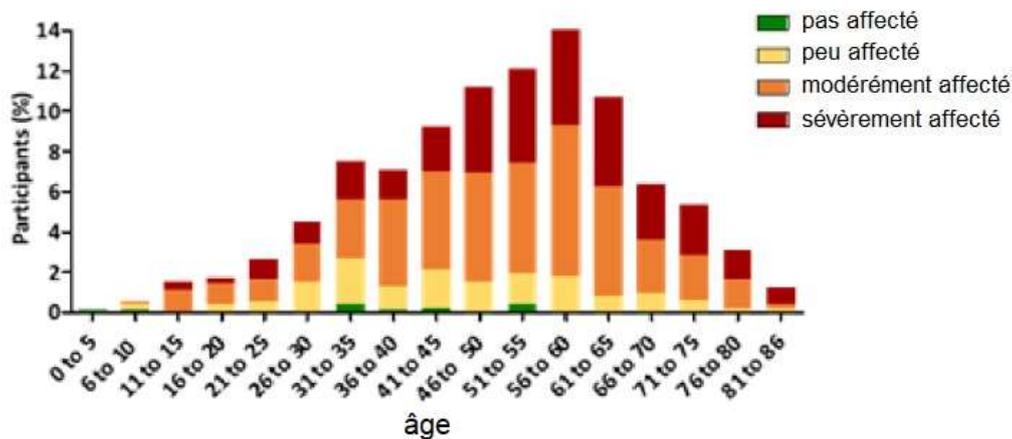


3 - Progression de la FSH et impact

Les participants ont été interrogés sur leur condition actuelle.

Pour 40 % des patients, les premiers symptômes sont apparus entre 11 et 20 ans et étaient en majorité le décolllement des omoplates (31%), la faiblesses des membres inférieurs (22%) ou supérieurs (19%).

perception par les patients de la sévérité de leur atteinte



La majorité des patients ont subi une chute au moins une fois par an.

La fonctionnalité des membres supérieurs est également affectée avec l'avancée en âge.

9 % des patients ont une fonction respiratoire affectée.

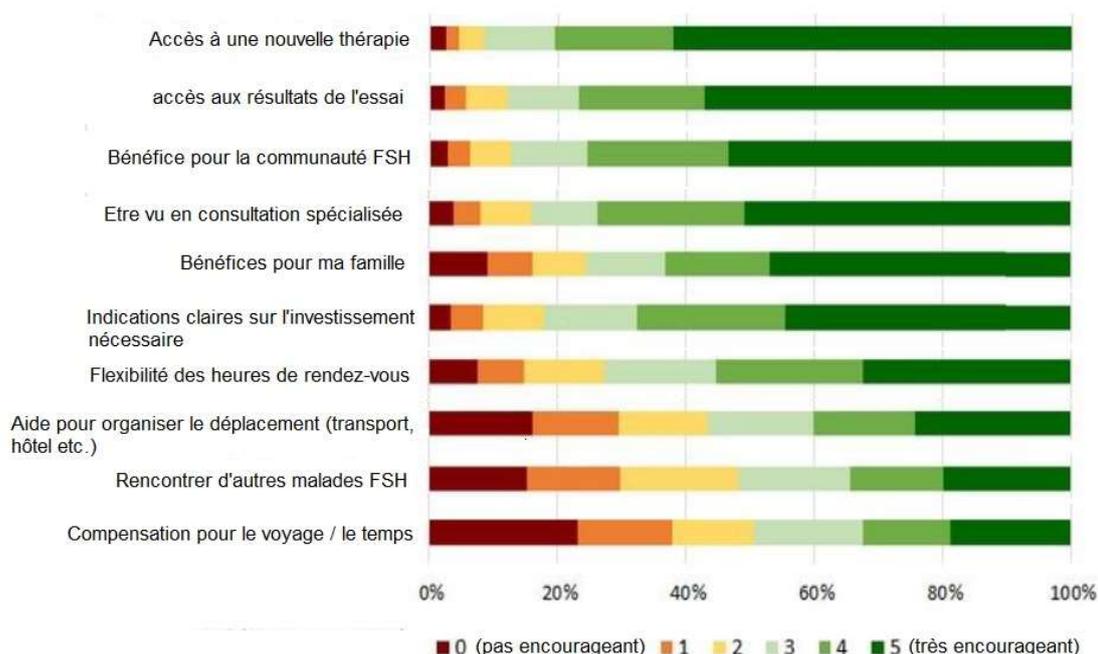
L'atteinte faciale entraîne des difficultés pour avaler ou pour parler chez 6 à 8 % des patients.

La perte de la marche ou la mobilité restreinte, la faiblesse musculaire et la fatigue sont les symptômes qui impactent le plus la vie quotidienne des patients.

4 - Décider de participer à un essai clinique

4.1 - Qu'est-ce qui peut encourager à participer à un essai clinique ?

Les principales motivations des patients pour participer à un essai clinique sont : avoir accès à une thérapie, avoir accès aux résultats de l'étude, bénéficier à l'ensemble de la communauté FSH.



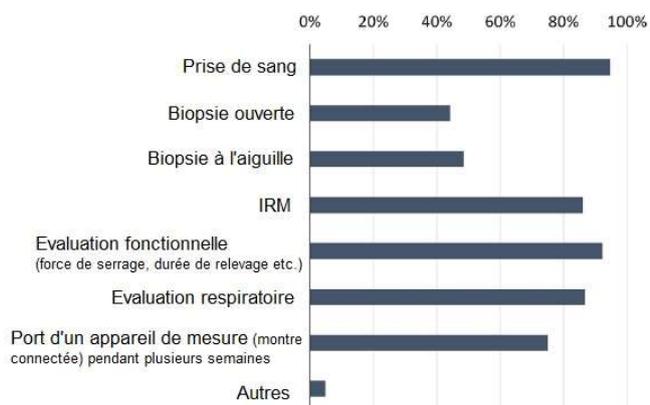
D'autres motivations ont été citées en réponse libre :

- Pouvoir participer à distance (vidéo)
- Avoir des explications sur l'essai, les risques, la méthode de sélection des patients
- De nombreux participants ont cité des raisons altruistes comme : aider la Recherche, aider des membres de sa famille ou les générations futures
- Flexibilité concernant les obligations professionnelles
- Soutien psychologique, possibilité d'avoir un accompagnant (conjoint, amis etc.)

4.2 - Concernant les procédures d'organisation de l'essai

4.2 - Concernant les procédures d'organisation de l'essai

Presque tous les examens seraient bien acceptés par les patients, à l'exception des biopsies.



Moins de 50 % des patients seraient prêts à subir une biopsie, mais ils ont mentionné qu'une anesthésie, ou des explications sur la nécessité de la procédure pourraient les encourager à accepter.

Pour ceux qui acceptent la biopsie, ils sont 82 % à accepter d'en subir 2 ou davantage.

Concernant l'IRM, les patients sont prêts à passer dans la machine :

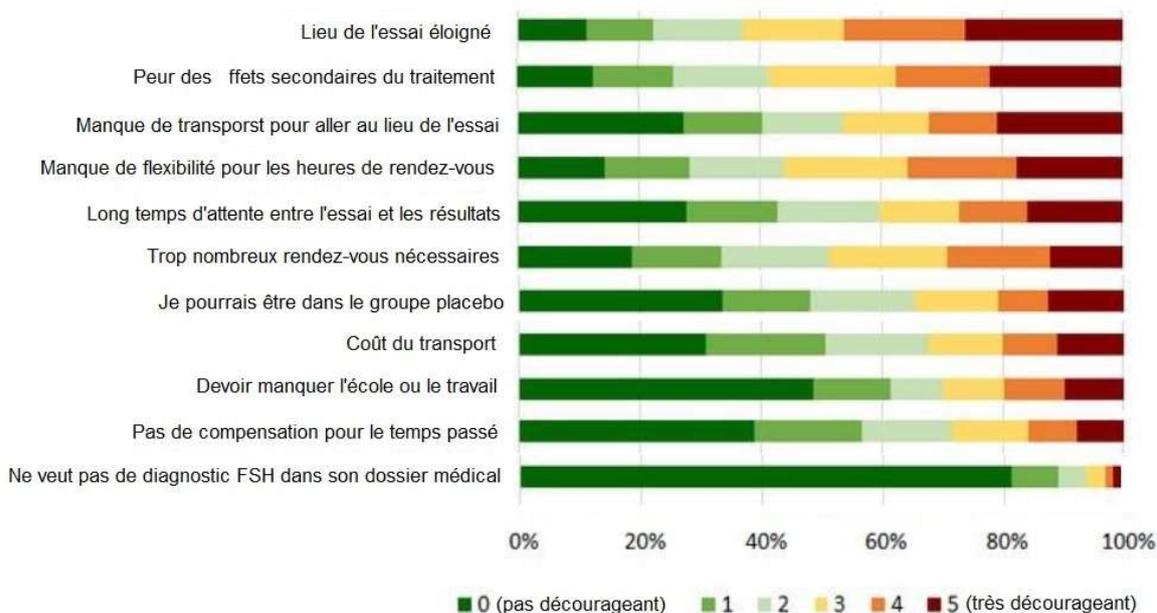
- moins de 30 minutes 17 %
- jusqu'à 1h 36 %
- jusqu'à 1h30 17 %
- 2 h ou plus 30 %

Voyager peut être fatigant pour les patients FSH. Il faut que les procédures d'essais minimisent l'inconfort des patients, par exemple ne pas faire une évaluation fonctionnelle sans un temps de repos.

36 % des patients préfèrent voyager la veille des tests pour avoir une nuit de repos, 20 % ont besoin de plusieurs heures de repos, 42 % de moins d'une heure.

95 % des patients seraient volontaires pour une évaluation à distance au téléphone, et 93 % pour se tester eux-mêmes et transmettre les données.

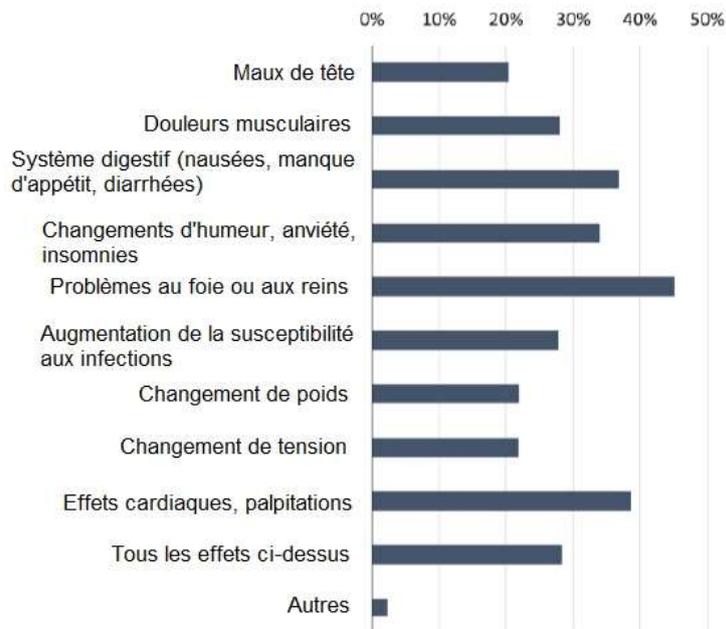
4.3 - Qu'est-ce qui peut décourager de participer à un essai clinique ?



D'autres points décourageants ont été noté en réponse libre :

- Les patients veulent être bien informés sur les objectifs de l'essai clinique, ce qu'on attend des participants, les avancées et les résultats de l'essai.
- Les patients veulent un soutien psychologique en cas d'effet secondaire ou si l'essai est suspendu ou arrêté.
- Les patients ont peur d'effets secondaires comme des douleurs ou une détérioration de leur état.

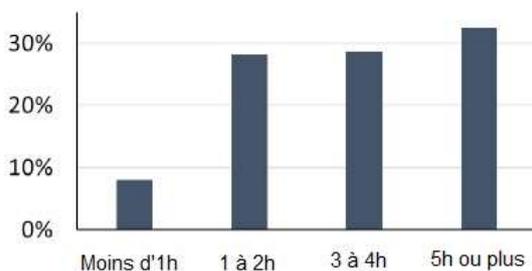
Quels effets secondaires sont craints



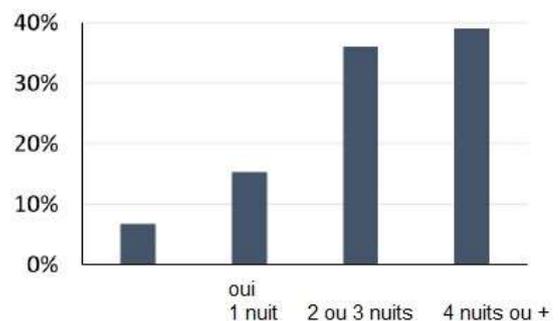
4.4 - Voyager pour participer à un essai clinique

Bien que la distance à parcourir soit un facteur décourageant pour un grand nombre de patients, ils sont tout de même prêt à le faire pour beaucoup d'entre eux, et même à rester une ou plusieurs nuits à l'hôtel, à condition que cela soit bien précisé au démarrage de l'essai et que l'hôtel soit équipé en fonction de leur handicap.

Combien de temps les patients seraient prêts à voyager pour participer à un essai



Les patients seraient-ils prêts à passer des nuits hors de chez eux



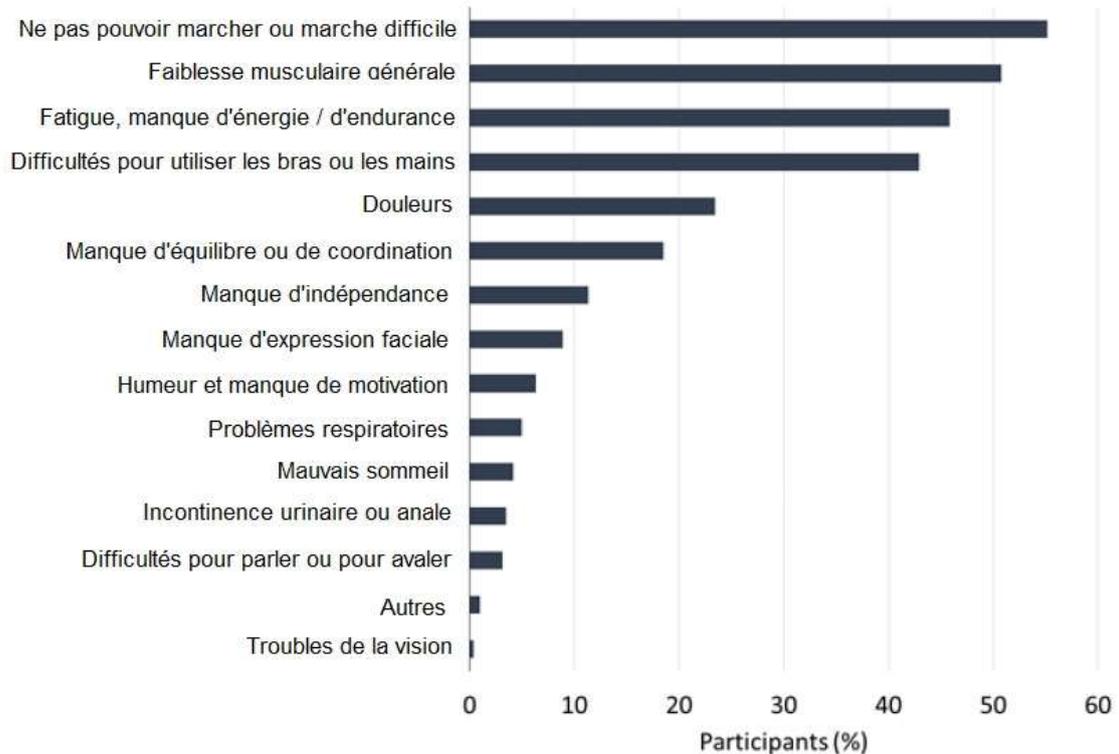
La moitié des patients (52%) ont répondu qu'ils étaient prêts à aller à l'étranger pour participer à un essai clinique, y compris dans un pays dont ils ne parlent pas la langue pour la majorité de ces derniers (72%).

L'aide pour organiser le voyage, le remboursement des frais de transport, la possibilité de consulter dans un hôpital de proximité ou à distance pourraient encourager la participation des patients.

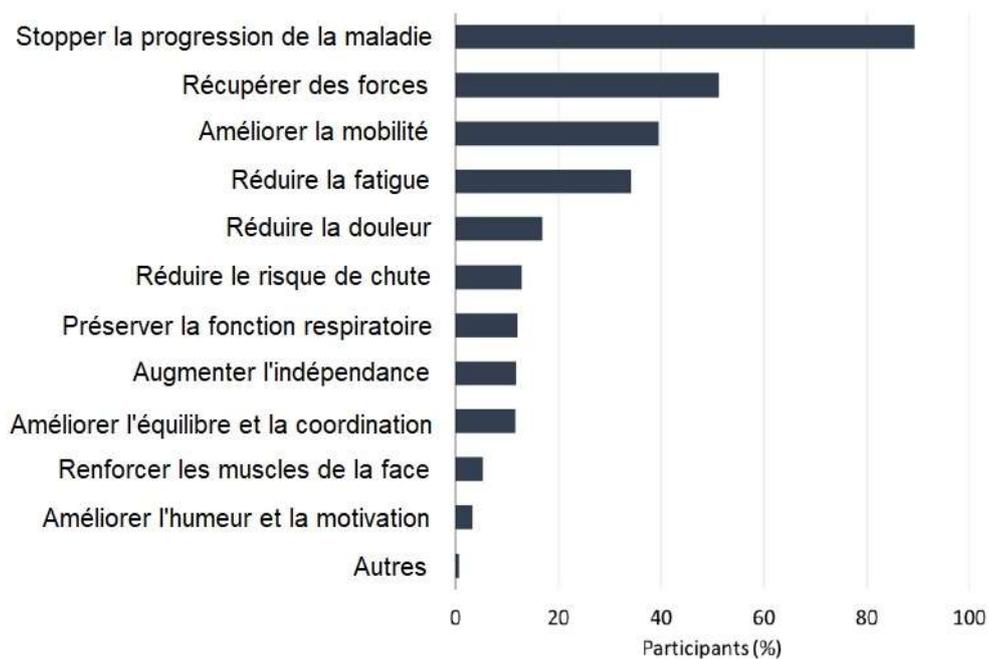
5 - Les attentes

5.1 - Bénéfices potentiels d'une nouvelle thérapie

Quels symptômes les participants voudraient voir améliorés en premier



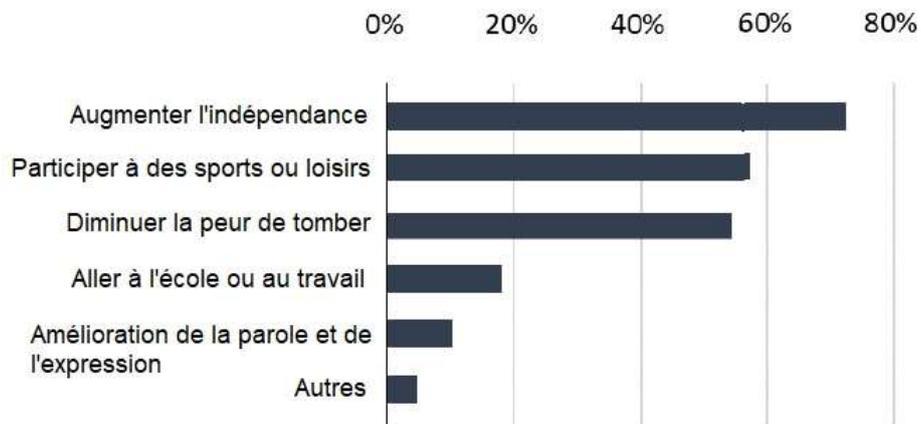
Le plus important résultat d'une nouvelle thérapie



D'autres réponses ont été données en texte libre :

- Augmenter la possibilité de participer à des activités sociales, comme des promenades avec famille ou amis, s'occuper de ses enfants ou petits-enfants.
- Améliorer l'humeur, la confiance, l'énergie ; soulager la douleur.
- Améliorer la déglutition, les problèmes cardiaques, le poids.

Bénéfices sociaux que les participants considèrent comme importants



5.2 - Attentes au niveau de la communication

Plusieurs participants ont déclaré avoir participé à des essais clinique auparavant mais n'avaient reçu aucun résultat. Nous suggérons qu'une communication ouverte et claire et des informations données aux participants pourrait améliorer l'expérience des participants et donc le recrutement.