

Évaluation des médicaments

Questionnaire pour les associations et
groupes de patients et de proches
aidants

Une production de l'Institut national
d'excellence en santé
et en services sociaux (INESSS)

Section A - Contexte et directives

Contexte et objectifs du questionnaire

L'INESSS reconnaît que les patients et les proches aidants détiennent un savoir unique sur la vie avec une maladie ou un état de santé particulier. Ils peuvent décrire les avantages et les inconvénients des traitements actuellement disponibles, qui ne sont pas toujours rapportés dans la littérature publiée, et pour porter un jugement sur un nouveau traitement.

Ce questionnaire a été créé pour aider les associations et les groupes de patients et de proches aidants à fournir de l'information destinée à l'évaluation d'un produit particulier. Leurs connaissances sur le sujet pourront influencer les recommandations de l'INESSS.

Le fait de répondre à ce questionnaire demande des ressources importantes. Aussi nous nous engageons à mettre toutes les contributions à la disposition de tous ceux qui sont impliqués dans le processus d'évaluation. Par ailleurs, notre avis comportera une explication sur l'utilisation de vos réponses dans l'élaboration des recommandations.

Les réponses à ce questionnaire pourraient être déposées sur notre site Internet, après retrait des informations financières et des renseignements personnels permettant l'identification des personnes.

Comment remplir le questionnaire

Dans ce questionnaire, le terme « patient » fait référence à quelqu'un qui est atteint, a été atteint de la maladie, ou dont l'état de santé requiert la prescription du médicament. Le terme « proche aidant » renvoie à une personne qui prend soin d'un patient, en lui fournissant par exemple du soutien, de l'aide et un accompagnement, et inclut les membres de la famille, les ami(e)s et toute autre personne significative.

La première section porte sur les informations concernant votre association ou groupe de patients ou de proches aidants. Elles sont requises afin de nous permettre de mieux connaître les associations qui répondent à notre questionnaire, et leurs représentants, par souci de transparence. Cette section comporte de plus des questions relatives aux conflits d'intérêts, puisque l'INESSS demande que tous les participants au processus d'évaluation, qu'il s'agisse d'individus ou d'organisations, fassent état de leurs conflits d'intérêts, et ce, dans le but d'assurer l'objectivité et la crédibilité du processus. Précisons que ces informations ne sont pas utilisées pour rejeter des questionnaires ou de l'information fournie.

La seconde section du questionnaire comporte trois grandes sous-sections, qui traitent de l'impact de la maladie, des traitements actuellement disponibles et des médicaments à l'étude. Plus précisément, dans les sections B-2 à B-6, nous vous demandons de décrire les difficultés rencontrées par les patients et leurs proches, l'expérience avec les traitements en vigueur, les attentes vis-à-vis le médicament à l'étude et, si vous les connaissez, les bénéfices ou inconvénients potentiels de ce médicament.

Pour chacune des questions, veuillez réfléchir aux enjeux existants qui peuvent être utiles à l'évaluation du médicament et à la prise de décision. La liste des enjeux apparaissant sous chaque question est donnée à titre d'exemple et n'est pas exhaustive. Identifiez ceux que votre association ou groupe trouve importants et décrivez tout autre sujet pertinent qui ne serait pas mentionné. Veuillez décrire des faits, fournir des informations et résumer l'expérience du patient et de ses proches qui donne un aperçu équilibré et précis de leur perspective. N'oubliez

pas de préciser la source de cette information en indiquant les références. Pour chaque section du document, si vous pensez que des groupes méritent d'être particulièrement considérés (par exemple, enfants, hommes ou femmes, groupes ethniques, personnes vivant dans une région spécifique, personnes handicapées ou invalides, sous-types de la maladie), veuillez le préciser et indiquer leurs besoins ou problèmes spécifiques.

Il n'est pas utile de nous transmettre des articles scientifiques, puisque nous y avons déjà accès. Toutefois, si vous avez une interprétation particulière de certains essais cliniques, nous serons intéressés à en prendre connaissance.

Si vous avez des interrogations au sujet de ce questionnaire, veuillez nous écrire à : plan.commentaires.inscription@inesss.qc.ca

Lorsqu'il sera rempli, veuillez nous en acheminer une copie électronique à l'adresse courriel mentionnée ci-dessus ou par voie postale, à l'adresse suivante :

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)
Direction du médicament
2535, boulevard Laurier, 5^e étage
Québec (Québec) G1V 4M3

Section B - Commentaires sur un médicament

1. Information sur l'organisation et déclaration de conflits d'intérêts

Nom du médicament et de l'indication : Nexviazyme® (avalglucosidase alfa-ngpt) pour le traitement de la maladie de Pompe

Nom de l'organisation : Dystrophie musculaire Canada

Site web : www.muscle.ca

Auteur des réponses au questionnaire : Marie-Hélène Bolduc

Nom de la personne-ressource à contacter : Marie-Hélène Bolduc

Courriel : marie-helene.bolduc@muscle.ca

Téléphone : 1-800-567-2873 #3102

Adresse postale : 1425, boul. René-Lévesque Ouest, suite 500, Montréal, H3G 1T7

1.1 Information sur l'organisation

Type d'organisation (Cochez toutes les cases qui s'appliquent) :

- Association de personnes** : Groupe de personnes réunies dans un intérêt commun, autre que la réalisation de profits à partager entre les membres, dont les activités visent à promouvoir l'étude, la défense et le développement des intérêts économiques, sociaux ou moraux de ses membres (Registraire des entreprises, gouvernement du Québec)
- Groupement de personnes** : Tout rassemblement, autre qu'une association, de deux personnes ou plus qui partagent un intérêt commun (pécuniaire ou non) (Registraire des entreprises, gouvernement du Québec)
- Personne morale sans but lucratif** : Groupement de personnes qui exerce des activités sans but lucratif (Registraire des entreprises, gouvernement du Québec)
- Organisme communautaire subventionné par le MSSS** : Regroupement de personnes issues de la communauté, soutenues par cette dernière et mobilisées autour d'objectifs communs qui œuvre dans le domaine de la santé et des services sociaux, et qui est subventionné par l'entremise du Programme de soutien aux organismes communautaires du Ministère de la santé et des services sociaux du Québec (MSSS).
- Organisme de bienfaisance enregistré** : Organisme de bienfaisance enregistré aux agences de revenu du Canada ou du Québec (Revenu Québec)
- Fondation publique** : Fondation administrée à des fins de bienfaisance. La majorité de ses administrateurs ou de ses autres responsables traitent entre eux sans lien de dépendance. (Ministère du Travail, de l'Emploi et de la Solidarité sociale)
- Fondation privée** : Fondation dont plus de la moitié des administrateurs sont des personnes liées ou ont entre eux un lien de dépendance et plus de 50 % du financement provient d'une seule personne ou d'un groupe de personnes ayant entre elles un lien de dépendance (Ministère du Travail, de l'Emploi et de la Solidarité sociale)

- Association ou groupement mixte** : Association ou groupement regroupant des professionnels et des patients
- Regroupement d'associations** : Union, fédération, coalition ou toute autre forme de regroupement d'associations, d'organismes communautaires, de groupements de personnes, d'organismes de bienfaisance, etc.
- Autre, précisez :

Juridiction

- Nationale
- Provinciale
- Régionale
- Autre, précisez :

Mandat / Rôle (Cochez toutes les cases qui s'appliquent)

- Défense des droits et promotion des intérêts des membres
- Amélioration de l'accès aux nouveaux traitements
- Soutien aux personnes
- Financement de la recherche
- Promotion et soutien à la recherche
- Formation
- Campagnes d'information et de sensibilisation
- Autre, précisez :

Décrivez la composition des principales instances de votre organisation, et indiquez les noms des personnes responsables et leur titre.

Par exemple :

- *Organigramme (donnez la référence de la page du site web de l'organisation, le cas échéant)*
- *Principales directions, unités, départements, etc.*
- *Présence ou non d'un conseil d'administration (CA)*

Dystrophie musculaire Canada est dirigée par un conseil d'administration

Voir la liste des membres: <http://www.muscle.ca/a-notre-sujet/nos-structures/le-conseil-dadministration/>

Voici le ELT (Executive leadership team):

Stacey Lintern, CEO (Chief executive officer)

Kendra Morton, Vice-présidente, Talent, culture et opérations

Faith Bacolod est la Vice-présidente, Finances et administration.

Jennifer Williams, Vice-présidente, Philanthropie

Homira Osman, Vice-présidente, Recherche et politiques publiques

Marie-Hélène Bolduc, Vice-présidente, Programmes et services

Les différents départements sont: les communications et le marketing, l'informatique et le traitement des données, la recherche, les programmes et services, et la philanthropie, (incluant les dons majeurs, les campagnes annuelles et les pompiers).

Décrivez vos adhérents.

Par exemple :

- *Nombre et types de membres*
- *Régions desservies*
- *Données démographiques*

Au Canada, Dystrophie musculaire Canada (DMC) compte 12 012 personnes atteintes d'une maladie neuromusculaire inscrites dont 4 064 au Québec. Les membres de la famille, amis, professionnels de la santé et chercheurs font aussi partie des catégories de membres.

Au Canada, il y a 60 personnes atteintes de la maladie de Pompe. Nous estimons qu'il y en a 15 au Québec.

1.2 Déclaration de conflits d'intérêts

Un conflit d'intérêts survient lorsqu'une personne se retrouve dans une situation où, objectivement, son jugement dans le cadre d'une fonction est susceptible d'être ou de paraître influencé par d'autres considérations, qu'elles soient de nature personnelle, financière ou en lien avec ses activités professionnelles. Un conflit d'intérêts peut être réel, potentiel ou apparent. Les organisations peuvent également avoir des intérêts financiers ou des intérêts liés à leur réputation, qui entrent en conflit avec les obligations relatives à leur mission ou le mandat qui leur est confié.

Listez toutes les compagnies ou organisations qui vous ont fourni des ressources (financières, humaines, matérielles, ou autres services de consultation, de communication, de représentation, de recherche, etc.) dans les deux dernières années ET qui ont un intérêt en lien avec le médicament évalué. L'énumération ne doit pas se limiter au fabricant du médicament évalué, mais inclure toute organisation concernée, directement ou indirectement, par ce médicament.

Rappel : Ces informations ne sont pas utilisées pour rejeter des questionnaires ou de l'information fournie.

Organisations

Sanofi Genzyme

Montant

101 500\$

Les montants fournis par Sanofi Genzyme ont été demandés et utilisés pour des activités éducatives spécifiques telles que des webinaires, des tables rondes et une vidéo de sensibilisation à la maladie de Pompe. Aucun montant n'a été utilisé pour la réalisation de ce questionnaire.

Organisations

Montant

Organisations

Montant

Organisations

Montant

Votre organisation, ou l'un de ses responsables, a-t-il déjà publié ou exprimé publiquement (ex. : un communiqué de presse, une entrevue médiatique, sur le web, etc.) une opinion claire relativement au traitement évalué? Si oui, de quelle nature? Rappel : Ces informations ne sont pas utilisées pour rejeter des questionnaires ou de l'information fournie.

Opinion publiée ou exprimée publiquement

Référence (s'il y a lieu)

Opinion publiée ou exprimée publiquement

Référence (s'il y a lieu)

Opinion publiée ou exprimée publiquement

Référence (s'il y a lieu)

Opinion publiée ou exprimée publiquement

Référence (s'il y a lieu)

Votre association, ou ses responsables, a-t-elle d'autres conflits d'intérêts à déclarer ?

Oui

Non

Si oui, de quelle nature?

Par exemple :

- *Avantages personnels reçus de la part d'un fabricant ou d'un organisme intéressé par l'évaluation de l'INESSS (don, cadeaux, articles promotionnels, voyage, services, actions, option d'achat, etc.)*
- *Activités financées par un fabricant ou un organisme intéressé par l'évaluation de l'INESSS (subvention de recherche ou d'éducation, honoraires de consultant, participation ou organisation de conférence, comité, salaire, etc.)*
- *Soutien de l'association par un fabricant ou un organisme intéressé par l'évaluation de l'INESSS*
- *Affiliation*
- *Relations personnelles ou commerciales avec un fabricant ou autres groupes d'intérêts*

1.3 Information sur les modalités, l'aide reçue et les sources d'informations utilisées, s'il y a lieu, pour remplir le questionnaire

Indiquez si une aide vous a été apportée pour remplir ce questionnaire et, si oui, précisez par qui, à quel titre et le type d'aide prodiguée.

L'association canadienne de la maladie de Pompe a travaillé de concert avec DMC afin de rejoindre le plus de participants possible. Ayant une plus grande banque de données de personnes atteintes et de proches-aidants liés à la maladie de Pompe, ce sont eux qui ont fait parvenir l'invitation à participer au questionnaire en ligne (Survey Monkey) à leur membres et

Dystrophie musculaire Canada a effectué des entrevues lorsque demandé et traité l'information afin de répondre à ce questionnaire.

Indiquez la nature des informations utilisées et la méthode employée pour remplir le questionnaire.

Par exemple :

- *Nombre de participants*
- *Méthode employée : sollicitation des membres, enquête sur internet ou autre, commentaires sur les réseaux sociaux, groupe de travail ou de discussion, témoignages, analyse des appels à une ligne téléphonique d'aide, dossiers médicaux, conversations avec les patients ou les proches lors d'essais cliniques, histoires relatées par les patients ou les proches, etc.*
- *Références*

Pour ce rapport, 11 personnes ont répondu à un sondage Survey Monkey. L'invitation et le lien ont été envoyés par courriel par l'Association canadienne de la maladie de Pompe. Les personnes préférant répondre au sondage par téléphone ont été en mesure de le faire. 1 seul répondant a choisi cette option. Les questions posées comprenaient les questions 2.1, 2.2, 3.1, 3.2, 4.1 et 5 du présent formulaire, en plus de d'autres questions complémentaires.

Voici le lien envoyé : <https://bit.ly/contributionsurlamaladiedepompe>

Sur les 11 répondants, 4 étaient des hommes âgés de 44, 51, 56 et 71 ans, 4 étaient des femmes âgées de 23, 41, 47 et 73 ans et 3 étaient des parents de garçons de 7 et 13 ans et d'une fille de 9 ans.

En plus de ces questionnaires, une personne a été interrogée sur zoom afin que l'INESSS puisse consulter la vidéo de l'entrevue. Voici le lien: https://uqam-my.sharepoint.com/personal/fg091317_ens_uqam_ca/Documents/Entrevue%20avec%20Audrey%20Belouin,%20m%C3%A8re%20d'Anthony.mp4

2. L'impact de la maladie ou de l'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? Quels aspects posent le plus de difficultés ?

Par exemple :

- *Symptômes les plus importants à contrôler*
- *Impact sur les activités de la vie quotidienne et sur les activités de la vie domestique*
- *Nécessité d'une aide pour la vie quotidienne*
- *Impact social/relationnel*
- *Équilibre familial*
- *Relation intime, troubles sexuels*

..Les problèmes de mobilité, de fatigue, de manque d'endurance et la peur de tomber semblent être des symptômes vécus par tous les répondants, qu'ils soient enfants ou adultes. Il en est de même pour la dépendance envers les proches pour accomplir les tâches de la vie quotidienne.

" L'impact le plus important c'est que je suis capable de me lever tout seul, mais je ne peux pas m'habiller tout seul. C'est trop dangereux pour tomber et je ne peux pas me relever tout seul. J'ai besoin d'aide pour l'habillement. Même chose pour sortir du bain ou de la douche. Quand c'est mouillé, je peux tomber, mes jambes sont fragiles. Ma femme m'aide. Si elle n'est pas là, je ne peux pas m'habiller et ni prendre ma douche. "

De plus, maintenir un emploi avec la maladie de Pompe semble très difficile.

" Je ne peux pas travailler, je suis trop fatigué et les risques de tomber. Seule ma femme travaille et cela occasionne du stress. "

Chez les enfants, la maladie a un fort impact sur la socialisation et l'estime de soi.

"Tous ces éléments sont très difficiles à gérer pour un enfant et évidemment font de lui un enfant différent vis-à-vis ses pairs. Il ne peut donc pas participer aux activités que les enfants de son âge font. Comme du vélo, un sport d'équipe, une randonnée en montagne, etc.. Il se sent différent et c'est difficile psychologiquement de vivre cette différence. "

"Cela affecte beaucoup son estime de soi. Il réalise qu'il a des difficultés plus que les autres de son âge."

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

Par exemple :

- *Effets émotionnels/ psychologiques*
- *Équilibre familial*
- *Relation intime, vie sexuelle*

Que ce soit l'enfant atteint ou l'adulte, la maladie a un impact définitif sur l'équilibre familial. En effet, l'un des deux parents doit quitter son emploi ou diminuer ses heures de travail de façon à répondre aux besoins de l'enfant atteint et les adultes atteints n'ont pas l'endurance nécessaire pour travailler ce qui a un fort effet sur les finances familiales et par le fait même, l'équilibre familial. La fratrie est elle aussi affectée, car l'enfant atteint demande plus de soins et d'attention.

" Dû aux nombreux traitements, rendez-vous et thérapies, maman a dû arrêter de travailler pendant 4 ans et par la suite réorienter sa carrière afin d'être plus disponible de jour. Papa a donc dû travailler plus pour pallier le manque. "

"Organisation familiale, équilibre financier puisqu'on doit manquer beaucoup d'heures de travail pour les nombreux rendez-vous."

L'incompréhension de l'entourage ou le manque d'accessibilité a tendance à isoler les familles touchées. Ce sont non seulement les personnes atteintes qui se sentent isolées, mais tous les membres de leur famille.

"Nous refusons certaines sorties avec des amis, car notre fils ne pourrait pas participer. On doit souvent se séparer en deux afin de permettre à la grande soeur de vivre sa vie. C'est évidemment très difficile sur nos horaires, nos projets, nos envies et on doit rester fort psychologiquement pour le bien être des enfants."

L'inquiétude pour la santé de la personne atteinte, de même que l'adaptation à sa condition présente des défis pour les proches.

"Ma mère est décédée il y a un an, mais cela l'inquiétait beaucoup de me voir incapable de travailler comme je l'ai toujours fait. Mes amis sont là pour m'aider, mais ça fait quelque chose. Mon fils a 16 ans, il passe beaucoup de temps avec moi pour m'aider quand sa maman travaille. Il ne fait pas autant de choses que quelqu'un de son âge."

3. Expérience avec les traitements actuellement disponibles (autres que celui évalué)

3.1. Dans quelle mesure les patients, avec l'aide de leurs proches s'il y a lieu, gèrent-ils leur état de santé avec les traitements actuels? Par traitement, il faut entendre toute forme d'intervention comme les médicaments, la rééducation, le soutien psychologique, les prises en charge hospitalières, etc. Si aucun traitement n'est disponible, cela doit être mentionné.

Par exemple, listez les principaux traitements utilisés et leurs effets en termes de:

- *Modalités d'administration/de prise du traitement (fréquence, traitement à domicile/à l'hôpital, accès, voie d'administration)*
- *Difficultés à prendre un médicament tel que prescrit (déglutition, utilisation d'un dispositif, heure de prise, etc.)*
- *Actions spécifiques que les médicaments actuels impliquent (comprimés, injections, bilan, révision de la dose et fréquence, etc.)*
- *Consultations, examens complémentaires requis (bilan et surveillance biologique, radiologique), prise en charge associée (kinésithérapie, psychiatrie), exigence d'hospitalisation ou d'autres traitements*
- *Efficacité sur le contrôle ou la réduction des aspects les plus difficiles de la maladie*
- *Effets indésirables, en précisant les plus difficiles à tolérer et ceux qui sont acceptables*
- *Contrôle ou diminution des symptômes (bénéfices et effets indésirables principaux avec ce médicament, etc.)*
- *Répercussions sur les activités de la vie quotidienne et domestique*
- *Répercussions personnelles, sociales et relationnelles (interruptions professionnelles, changement de l'apparence physique, difficultés de déplacement, etc.)*
- *Préoccupations sur l'usage à long terme du traitement existant*
- *Difficulté d'accès*

Myozyme est le traitement utilisé par la plupart des répondants. Ce traitement peut être fait à la maison ou à l'hôpital dans les cas de patients en début de traitement et lorsque des effets secondaires ont été observés. Ce traitement dure plusieurs heures et il est habituellement

administré aux 2 semaines. D'autres traitements semblent aussi faire partie de la vie de la majorité des personnes interrogées telle que la prise de médicaments contre la douleur, la physiothérapie pour aider à bouger et demeurer actif, l'ergothérapie pour devenir ou rester autonome, l'inhalothérapie pour favoriser une bonne santé respiratoire. À cela s'ajoutent des visites régulières chez le neurologue, le cardiologue et le pneumologue. Ce qui ressort des traitements pour la maladie de Pompe c'est que ceux-ci prennent beaucoup de temps et occupent une grande place dans la vie des personnes atteintes et celle de leurs proches.

"Isaac doit manquer une journée d'école par deux semaines pour recevoir son traitement de Myozyme à la maison, soit 26 semaines par année, qui dure environ 5 heures chaque fois. Il a aussi nombreux rendez-vous médicaux à l'hôpital pour des suivis ou tests pour vérifier la progression de la maladie."

"j'ai des traitements aux 2 semaines à la maison, et je vois l'inhalo à la maison 2 fois par année. Je passe 2 tests de souffle, et un test de marche par année. Je rencontre mon neurologue 2 fois, et mes 2 pneumologues 1 fois par année. Je gère mes activités en conséquence de mes rendez-vous. La préoccupation à long terme du traitement, c'est que mes veines tiennent le coup le plus longtemps possible."

Le Myozyme est un traitement efficace et qui améliore la vie des personnes atteintes de maladie de Pompe, mais il a ses limites.

"Le traitement a permis à notre fils de voir son hypertrophie du myocarde complètement résolu. D'acquérir la capacité de marcher, manger, parler et respirer le plus normalement possible. De réduire considérablement sa fatigabilité. Nous savons que ce traitement a ses limites et qu'il arrive un moment où les patients atteignent un plateau et parfois se dégradent. Nous espérons donc que ce plateau arrivera le plus tard possible dans la vie de notre fils et que de nouveaux traitements plus efficaces seront disponibles dans un futur proche."

"Nous sommes inquiets du traitement actuel, car il y a une régression chez notre enfant, et le Myozyme ne se rend pas au muscle squelettique."

3.2 Quelles sont les principales attentes des patients et de leurs proches au regard du nouveau traitement?

Par exemple :

- Attentes face à l'efficacité pour soulager certains symptômes
- Attentes quant aux effets indésirables
- Attentes relatives à d'autres caractéristiques du traitement
- Attentes par rapport à l'accès
- Lacunes que le médicament idéal devrait combler
- Alternative aux traitements actuels

4. Expérience avec le médicament à l'étude

4.1. Pour ceux et celles qui ont expérimenté le médicament à l'étude, quelles sont les conséquences positives ou négatives de son utilisation? Quelles différences son utilisation a-t-elle entraînées dans leur vie ?

Par exemple, en termes de :

- *Avantages et inconvénients par rapport aux traitements actuellement disponibles*
- *Facilité d'usage ou d'observance (modalités d'administration/de prise du traitement, utilisation du médicament tel que prescrit)*
- *Efficacité, qualité de vie (ex. : amélioration des symptômes)*
- *Effets indésirables (ex. : aggravation des symptômes)*
- *Effets sur les activités de la vie quotidienne et domestique,*
- *Effets sur le plan personnel, social ou relationnel (ex. : impact financier)*

Un seul des 11 répondants a expérimenté le médicament à l'étude car il participe aux essais cliniques.

"It was my first treatment so I don't have any comparison. It gave me a huge improvement with my muscle strength however the site is out of my province so it is very time consuming for me to go there (and my caregiver). There were no side effects for me."

5. Information supplémentaire

Merci de communiquer toute information supplémentaire qui peut être utile à l'évaluation des médicaments.

Par exemple :

- *Problèmes éthiques ou sociaux, conflits relationnels avec des proches ou des professionnels de la santé*

6. Messages clés

En un maximum de cinq énoncés, listez les éléments les plus importants de vos réponses à ce questionnaire. Ces énoncés seront rapportés et soulignés lors de l'évaluation du médicament.

- 1- Nexviazyme devrait être accessible aux adultes atteints de maladies de Pompe et remboursé par la RAMQ. Les adultes touchés par la maladie de Pompe, considérant les nombreuses dépenses ou pertes de revenus qu'occasionne la maladie, ne seront pas en mesure de payer pour les traitements.
- 2- L'addition d'un autre traitement pour la maladie de Pompe est une option supplémentaire qui pallierait à l'effet de plateau rencontré avec le traitement existant.

- 3- La vulnérabilité du système respiratoire est un effet majeur de la maladie de Pompe. La prise de traitement tôt dans la maladie permettra de conserver les acquis, dans certains cas d'améliorer la condition et parfois même de ne jamais développer de faiblesse respiratoire.
- 4- Le manque d'énergie est un autre effet très envahissant de la maladie. Un traitement adéquat et efficace permettra aux personnes atteintes de la maladie de Pompe de demeurer indépendantes et de maintenir une participation active au sein de leur communauté.
- 5- Les problèmes de mobilité, un autre impact de la maladie de Pompe, pourront être réduits et ainsi, faciliter la qualité de vie des personnes touchées et leur participation pleine et entière à la société.

L'INESSS vous remercie de votre participation!

Ce questionnaire a été élaboré en s'inspirant du « Questionnaire de recueil du point de vue des patients et usagers pour l'évaluation d'un médicament » (2016), de la Haute autorité de santé française, et du « Patient Input Template for CADTH CDR and pCODR Programs » (2017), de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé.