

Retour d'expérience sur le fenfluramine (Fintepla)

chez les patientes atteints du syndrome de Dravet en Suisse

Introduction

Ce questionnaire a pour objectif de recueillir les expériences des patient·e·s atteints du syndrome de Dravet et de leurs familles concernant le traitement par fenfluramine (Fintepla).

Les informations seront analysées de manière anonymisée et utilisées sous forme de synthèse (sans noms ni données d'identification) afin de soutenir les discussions avec l'**Office fédéral de la santé publique (OFSP)** concernant la fixation du prix et la garantie de la disponibilité à long terme de la fenfluramine en Suisse.

☐ J'accepte que mes réponses soient utilisées de manière anonymisée à cette fin.

☐ Je confirme répondre en tant que parent / personne de référence / aidant·e pour le/la patient·e.

A. Informations générales

1. Âge de l'enfant / de la personne concernée : ____ ans

2. Sexe (optionnel) : ☐ F ☐ M ☐ Divers ☐ Pas d'indication

3. Canton de résidence (optionnel) : _____

4. Âge au moment du diagnostic du syndrome de Dravet : ____ ans

5. Depuis quand la fenfluramine est-elle prise ?

☐ < 3 mois ☐ 3–12 mois ☐ > 12 mois

6. Accès à la fenfluramine (optionnel, si connu) :

☐ prescription régulière ☐ prise en charge individuelle / autorisation spéciale ☐ étude / autre ☐ inconnu

B. Situation avant la fenfluramine

B1. Crises (fréquence, sévérité, types)

1. Fréquence moyenne des crises (avant la fenfluramine) :

☐ par jour : ____ ☐ par semaine : ____ ☐ par mois : ____

2. Types principaux de crises (plusieurs réponses possibles) :

☐ Crises tonico-cloniques généralisées

☐ Crises focales

☐ Myoclonies

☐ Absences

☐ Clusters de crises (séries)

☐ État de mal épileptique (status epilepticus)

☐ Autres / incertain : _____

3. Évaluation de la sévérité des crises (avant la fenfluramine) :

☐ légère ☐ modérée ☐ sévère ☐ très sévère

4. Situations d'urgence (avant la fenfluramine) :

- À quelle fréquence des médicaments de secours étaient-ils nécessaires ?

☐ très souvent ☐ souvent ☐ parfois ☐ rarement ☐ jamais

- Un état de mal épileptique est-il survenu ?

☐ oui, à plusieurs reprises ☐ oui, rarement ☐ non ☐ incertain

B2. Traitements antérieurs (avant la fenfluramine)

5. Combien de médicaments anti-crisés ont été essayés au total avant la fenfluramine ?

☐ 1–2 ☐ 3–5 ☐ 6–10 ☐ >10 ☐ incertain

6. Les traitements suivants ont-ils été utilisés avant la fenfluramine ? (plusieurs réponses possibles)

☐ Stiripentol (Diacomit)

☐ Cannabidiol (Epidyolex)

☐ Valproate

☐ Clobazam

☐ Topiramate

☐ Bromure

☐ Régime cétogène

☐ VNS (stimulation du nerf vague)

☐ Autres : _____

7. Effet global des traitements antérieurs sur la qualité de vie (pas seulement les crises) :

☐ très améliorée ☐ nettement améliorée ☐ légèrement améliorée ☐ aucun changement ☐ aggravation

B3. Charge médicale et prise en charge (avant la fenfluramine)

8. Hospitalisations (avant la fenfluramine) :

☐ fréquentes (≥ 6 /an) ☐ régulières (2–5/an) ☐ rares (0–1/an) ☐ aucune ☐ incertain

9. Consultations / contacts médicaux (avant la fenfluramine) :

☐ très fréquents ☐ fréquents ☐ modérés ☐ rares

B4. Vie quotidienne et charge (avant la fenfluramine)

10. Charge pour le/la patient·e (avant la fenfluramine) :

☐ très élevée ☐ élevée ☐ moyenne ☐ faible

11. Charge pour la famille (avant la fenfluramine) :

☐ très élevée ☐ élevée ☐ moyenne ☐ faible

12. Quels domaines étaient fortement limités ? (plusieurs réponses possibles)

☐ Sommeil (enfant)

☐ Sommeil (parents/famille)

☐ École / structure d'accueil / jardin d'enfants

☐ Loisirs / activités en dehors du domicile

☐ Voyages / vacances / sorties

☐ Travail des parents (absences / réduction du taux)

☐ Surveillance / encadrement permanent

☐ Vie sociale / vie de famille

☐ Autres : _____

Texte libre (optionnel)

13. Quelle était la plus grande difficulté au quotidien avant la fenfluramine ?

C. Changements sous la fenfluramine

C1. Effet sur les crises

1. Évolution de la fréquence des crises :

☐ très fortement réduite ☐ nettement réduite ☐ légèrement réduite ☐ aucun changement ☐ aggravation

2. Évolution de la sévérité des crises :

☐ nettement moindre ☐ un peu moindre ☐ inchangée ☐ plus sévère

3. Quels types de crises ont particulièrement changé ? (texte libre / optionnel)

4. Fréquence actuelle des crises (si connue) :

☐ par jour : ____ ☐ par semaine : ____ ☐ par mois : ____

C2. Améliorations hors crises

5. Depuis la fenfluramine, les améliorations suivantes ont été observées (cocher tout ce qui s'applique) :

☐ Attention / cognition (« plus présent·e », meilleur apprentissage / compréhension)

☐ Comportement / stabilité émotionnelle (moins d'agitation, moins d'agressivité, plus équilibré·e)

☐ Humeur générale / « bonheur »

☐ Sommeil de l'enfant

☐ Sommeil des parents / de la famille

☐ Autonomie / indépendance

☐ Motricité / stabilité (marche, équilibre)

☐ Communication / langage

- ☐ Interaction sociale (contacts, participation accrue)
 - ☐ Capacité à sortir de la maison (moins de peur / de restrictions)
 - ☐ Participation scolaire / prise en charge (plus régulière, davantage d'heures possibles)
 - ☐ Loisirs (aire de jeux, natation, sport, excursions)
 - ☐ Voyages / vacances / sorties en famille
 - ☐ Capacité des parents à travailler (moins d'absences, taux d'activité plus élevé possible)
 - ☐ Moins de stress / d'anxiété dans la famille (plus de sécurité, plus de « normalité »)
 - ☐ Aucune amélioration notable en dehors des crises
 - ☐ Autres améliorations : _____
-

C3. Effets médicaux / utilisation des ressources

6. Hospitalisations depuis la fenfluramine :

- ☐ plus aucune ☐ nettement moins ☐ un peu moins ☐ inchangé ☐ plus qu'avant

7. Médicaments de secours depuis la fenfluramine :

- ☐ presque jamais ☐ nettement moins souvent ☐ un peu moins souvent ☐ inchangé ☐ plus souvent

8. Consultations médicales depuis la fenfluramine :

- ☐ nettement moins ☐ moins ☐ inchangé ☐ plus
-

C4. Adaptations thérapeutiques

9. Depuis la fenfluramine, la dose ou le nombre d'autres médicaments a-t-il/elle pu être réduit(e)?

- ☐ oui ☐ non ☐ partiellement ☐ incertain

Si oui / partiellement : lesquels ? _____

10. Effets indésirables / difficultés (optionnel, mais utile) :

☐ aucun ☐ problèmes d'appétit / de poids ☐ fatigue / sédation ☐ troubles du sommeil ☐
agitation / comportement ☐ autres : _____

Texte libre : _____

D. Évaluation globale

Effet global de la fenfluramine sur la qualité de vie (crises + aspects hors crises) :

☐ très fortement améliorée ☐ fortement améliorée ☐ légèrement améliorée ☐ aucun
changement ☐ aggravation

1. Importance de la fenfluramine pour votre enfant / votre famille :

☐ utile ☐ très importante ☐ indispensable

2. Recommanderiez-vous la fenfluramine (sous contrôle médical) à d'autres familles Dravet ?

☐ oui ☐ plutôt oui ☐ plutôt non ☐ non ☐ impossible à évaluer

E. Commentaire personnel

Qu'est-ce que la fenfluramine a concrètement changé dans la vie de votre enfant et de votre famille ? (par ex. sécurité, sommeil, quotidien, liberté, école, voyages, stress, perspectives d'avenir)

Optionnel : un exemple ou un « moment » illustrant particulièrement ce changement :

F. Optionnel (contact via Dravet-Suisse)

☐ Je serais disposé·e à être contacté·e, si nécessaire, via Dravet-Suisse (p. ex. pour des questions).

Coordonnées (conservées séparément du questionnaire) : _____
