



Association Française de l'Ataxie de Friedreich (AFAF)

LA VOIX DES PATIENTS

**TÉMOIGNAGES DE PATIENTS SOUS SKYCLARYS
(OMAVELOXOLONE)**

**LEURS RESENTIS EN VIE REELLE
APRES 2 SEMAINES A 11 MOIS DE TRAITEMENT**

ENQUETE REALISEE EN OCTOBRE-NOVEMBRE 2024

RAPPORT INTERNE

Ce document, propriété de l'AFAF, est confidentiel. Les informations qu'il contient ne peuvent être utilisées, divulguées, publiées, reproduites ou diffusées de quelque autre manière sans l'accord de l'AFAF.

Association Française de l'Ataxie de Friedreich
33 rue de l'hôpital, appt 46 – 56890 ST AVÉ
contact@afaf.asso.fr
www.afaf.asso.fr

Table des matières

Liste des tableaux	3
Liste des figures	4
1 Introduction	5
2 Objectif	5
3 Méthode	5
4 Résultats	5
4.1 Caractéristiques de répondants.....	5
4.2 Ressentis des patients sur Skyclarys (150 mg/jour) sans interruption dès le début du traitement	8
4.2.1 Ressentis physiques positifs les plus importants.....	9
4.2.2 Apparition des améliorations en fonction de la durée du traitement	10
4.2.3 Effets physiques positifs en fonction de l'âge et de la durée de la maladie	12
4.2.4 Effets physiques négatifs	14
4.2.5 Effets ressentis par les jeunes de 16 -17 ans.....	15
4.2.6 Impact des effets physiques positifs dans vie quotidienne	16
4.2.7 Espoirs.....	17
4.3 Niveau de satisfaction.....	17
5 Conclusions	18
6 Annexe Questionnaire Enquête Skyclarys	19

Liste des tableaux

Tableau 1. Caractéristiques de patients AF qui ont répondu le questionnaire	5
Tableau 2. Caractéristiques de patients sous Skyclarys	6
Tableau 3. Caractéristiques de patients qui ne prennent pas le Skyclarys	7
Tableau 4. Motifs de non prise du Skyclarys	7
Tableau 5. Motifs d'arrêt du Skyclarys	7
Tableau 6. Ressentis des patients qui ont arrêté le traitement	8
Tableau 7. Ressentis des patients qui prennent actuellement 50 ou 100 mg/jour de Skyclarys (1 ou 2 gélules/ jour)	8
Tableau 8. Nombre de personnes avec des ressentis physiques	9
Tableau 9. Autres effets physiques positifs	10
Tableau 10. Effets physiques négatifs	15
Tableau 11. Effets physiques positifs de jeunes de 16-17 ans	15
Tableau 12. Changements dans la vie quotidienne	16
Tableau 13. Espoirs des patients concernant les aspects moteurs, la maladie et le Skyclarys	17

Liste des figures

Figure 1. Nombre des patients et catégories en fonction des réponses	6
Figure 2. Nombre de personnes qui disent ne rien ressentir après le traitement avec Skyclarys en fonction de la durée du traitement et de la durée de l'AF.	9
Figure 3. Ressentis physiques les plus importants chez les patients ambulatoires et non ambulatoires après le traitement avec Skyclarys.....	10
Figure 4. Amélioration de l'équilibre, de la coordination et de la motricité chez les patients ambulatoires et non ambulatoires, après le traitement avec Skyclarys.....	11
Figure 5. Amélioration de l'élocution et diminution de fausses routes chez les patients ambulatoires et non ambulatoires, après le traitement avec Skyclarys.	12
Figure 6. Diminution de la fatigue chez les patients ambulatoires et non ambulatoires, après le traitement avec Skyclarys.....	12
Figure 7. Amélioration de l'équilibre, de la coordination et de la motricité chez les patients ambulatoires et non ambulatoires en fonction de leur âge et de la durée de l'AF.	13
Figure 8. Amélioration de l'élocution et diminution de fausses routes chez les patients ambulatoires et non ambulatoires en fonction de leur âge et de la durée de l'AF.	14
Figure 9. Diminution de la fatigabilité chez les patients ambulatoires et non ambulatoires en fonction de leur âge et de la durée de l'AF.....	14
Figure 10. Niveau de satisfaction des personnes qui n'ont pas arrêté le traitement avec Skyclarys ...	17

1 Introduction

Le conseil d'administration de l'AFAP a souhaité recueillir les ressentis des adhérents atteints de l'ataxie de Friedreich (AF) sous Skyclarys (omaveloxolone), médicament disponible en Accès Précoce en France depuis décembre 2023 dans le traitement de l'AF pour les plus de 16 ans, **afin d'apporter de nouveaux éléments de vie réelle, après 2 à 44 semaines (11 mois) de traitement.**

2 Objectif

Recueillir les ressentis des patients sous traitement Skyclarys ainsi que l'avis de leurs proches, à partir d'exemples concrets.

3 Méthode

Un questionnaire (voir Annexe Questionnaire Enquête Skyclarys) a été transmis en ligne uniquement aux adhérents de l'AFAP afin de recueillir des :

- Informations sur les répondants : sexe, âge actuel, âge au début des symptômes et diagnostic, moyen de déplacement.
- Informations relatives au traitement : date de début, conditions de prescription, date et causes en cas d'arrêt, motifs en cas de nonaccès au traitement.
- Questions semi-ouvertes sur les 5 éléments les plus cités lors des 9 entretiens non directifs réalisés précédemment par l'AFAP : l'équilibre, la coordination, la motricité, l'élocution et la fatigabilité (ressentis/effets positifs et négatifs).
- Questions ouvertes : sur la vie professionnelle ou sociale, la vie de famille et les espoirs.
- Un système de notation à cinq niveaux : pour évaluer le niveau de satisfaction au traitement.

Les réponses ont été collectées entre le 22 octobre 2024 et le 12 novembre 2024, soit après 2 semaines à 11 mois de traitement.

4 Résultats

4.1 Caractéristiques de répondants

Un total de 109 patients AF, âgées de 7 à 75 ans, ont répondu le questionnaire, ce qui représente environ 25% des personnes malades adhérentes de l'AFAP. Ces patients vivent avec la maladie en moyenne depuis 20 ans. Les patients actuellement non ambulatoires sont un petit peu plus nombreux (58%) que ceux qui peuvent encore marcher avec ou sans aide (42%) (**Tableau 1**).

Tableau 1. Caractéristiques de patients AF qui ont répondu le questionnaire

Caractéristiques de patients qui ont répondu le questionnaire	N=108*
Femme n (%)	58 (54%)
Homme n (%)	50 (46%)
Age (années)** médiane (min-max)	37 (17,4) 36 (7-75)
Age de premiers symptômes (années)**	16 (12,2)
Age au diagnostic (années)**	20 (13,6)
Années avec l'AF**	20 (12,2)
Ambulatoire/ Non ambulatoire n (%)	45 (42%) / 63 (58%)
Age moyen Ambulatoire/ Non ambulatoire	32 / 40

*Sur 109 personnes, 1 ne souhaite pas répondre

**moyenne (écart-type)

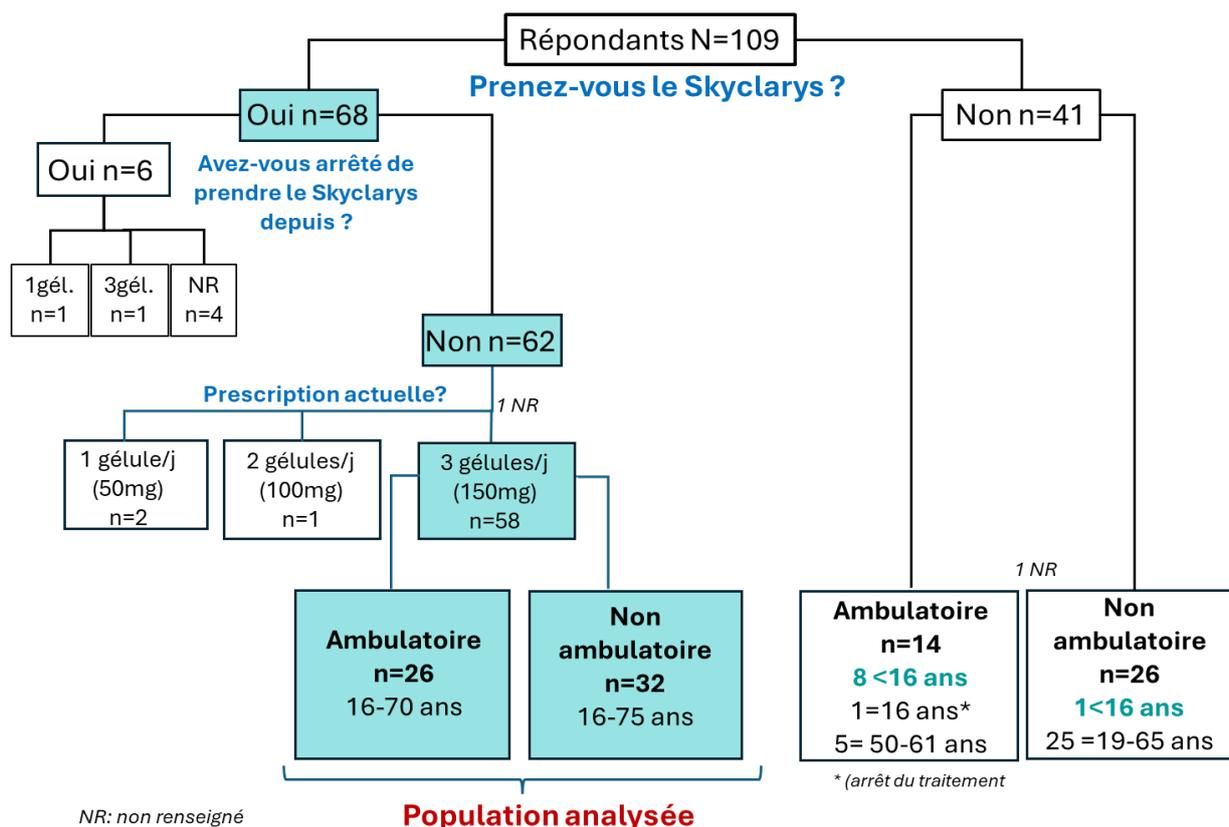


Figure 1. Nombre des patients et catégories en fonction des réponses

Sur 109 personnes, 68 ont déclaré prendre le Skyclarys et 41 non (Tableau 2 et Tableau 3 ; Figure 1).

Tableau 2. Caractéristiques de patients sous Skyclarys

Caractéristiques de patients qui ont pris le Skyclarys	N=68
Femme n (%)	36 (53%)
Homme n (%)	32 (47%)
Age (années)**	37 (17,2)
médiane (min-max)	36 (16-75)
Age de premiers symptômes (années)**	19 (12,6)
Age au diagnostic (années)**	22 (13,8)
Années avec l'AF**	18 (10,3)
Ambulatoire/ Non ambulatoire n(%)	29 (43%) / 38 (57%)
Age moyen Ambulatoire/ Non ambulatoire	33 / 40

**moyenne (écart-type)

Les 68 patients qui suivent le traitement sont âgées de 16 à 75 ans, vivent avec la maladie en moyenne depuis 18 ans, 29 peuvent encore marcher et 38 sont en fauteuil roulant (FR).

Tableau 3. Caractéristiques de patients qui ne prennent pas le Skyclarys

Caractéristiques de patients qui ne prennent pas le Skyclarys	N=41*
Femme n (%)	22 (55%)
Homme n (%)	18 (45%)
Age (années)**	36 (17,9)
médiane (min-max)	35 (7-65)
Age de premiers symptômes (années)**	13 (10,6)
Age au diagnostic (années)**	17 (12,7)
Années avec l'AF**	24 (14,2)
Ambulatoire/ Non ambulatoire n (%)	14 (35%) / 26 (65%)
Age moyen Ambulatoire/ Non ambulatoire	28 / 41

*Sur 41 personnes, 1 ne souhaite pas répondre

**moyenne (écart-type)

Parmi les 41 personnes qui ne suivent pas le traitement, 40 (1 personne ne souhaite pas répondre) sont âgées de 7 à 65 ans, vivent avec la maladie en moyenne depuis 24 ans, 14 peuvent encore marcher et 26 sont en FR. Il est à noter que parmi les personnes qui marchent, 9 ont ≤ 16 ans, alors qu'une seule personne de moins de 16 ans est en FR (**Figure 1**).

Ces personnes ont déclaré ne pas prendre le médicament pour diverses raisons (**Tableau 4**) :

Tableau 4. Motifs de non prise du Skyclarys

Motifs de non prise du Skyclarys (verbatim)	n
Non concerné(e)	2
Non éligible car moins de 16 ans	11
Il ne m'a jamais été proposé. Pas connaissance de neurologue pour le prescrire. Je ne trouve personne pour me le prescrire malgré mes demandes.	8
En attente de rdv ou de l'accord du neurologue	3
Contre indiqué avec mes problèmes cardiaques	8
Pas convaincu des bénéfices, traitement encore trop précoce. Redoute les effets secondaires	5
Autres (AF trop avancé pour être éligible, je prends de l'amizal, ma neurologue ne remplit pas les papiers et j'ai une mutation particulière, NR)	4

Parmi les 68 personnes qui ont pris le Skyclarys, 6 ont déclaré l'avoir arrêté (**Figure 1 et Tableau 5**)

Tableau 5. Motifs d'arrêt du Skyclarys

Patient	Age (ans)	Durée AF (ans)	Durée du traitement (sem.)	Posologie	Motif de l'arrêt (verbatim)
ambulatoire	38	14	11	NR	Fatigue importante et saignements de nez récurrent depuis le début du traitement.
non ambul.	36	20	8	3 gélules	Très grosse fatigue.
non ambul.	38	24	9	NR	Troubles du rythme cardiaque, élévation du taux de glycémie.
non ambul.	26	10	13	NR	Enzymes ASAT et ALAT beaucoup trop élevés. Perte d'appétit et fortes douleurs au ventre.
non ambul.	27	19	21	NR	Interaction avec la Duloxétine prise pendant 3 jours qui a provoqué un syndrome sérotoninergique
non ambul.	40	25	24	1 gélule	Œdème partout et rétention d'eau cause inconnue car prise de Gabapentine en parallèle

NR: Non Renseigné

Certains d'entre eux ont signalé des ressentis positifs et négatifs pendant le temps du traitement (**Tableau 6**).

Tableau 6. Ressentis des patients qui ont arrêté le traitement

Patient	Age (ans)	Durée AF (ans)	Durée du traitement (sem.)	Posologie	Ressentis (+)	Ressentis (-)	Changement vie sociale	Changement vie familiale	Autre changement	Changement observé/proche aidant
non ambul.	36	20	8	3 gélules	Non concerné(e)	Mot de tête et grosse fatigue	Non	Non	Non	NR
non ambul.	27	19	21	NR	Meilleure élocution, moins de fausses routes	NR	Non	Non	Oui	Un moral un peu meilleur
non ambul.	40	25	24	1 gélule	Amélioration de l'équilibre, meilleure coordination, meilleure élocution, moins de fatigabilité	Aucun	Les gens m'entend plus	Je joue plus avec mes enfants	Je fais beaucoup des choses plus facile et moins stresse	Elle parle beaucoup et mieux dans son équilibre

NR: Non Renseigné

Parmi les 62 patients qui ont continué à prendre le Skyclarys jusqu'à la date de cette enquête, 3 prennent actuellement le Skyclarys à une dose de 50 ou 100 mg/jour, c'est à dire 1 ou 2 gélules/jour. Les diminutions de posologies ont été dues à des perturbations hépatiques (aussi décrites dans l'étude clinique MOXIe¹), survenant souvent en début de traitement et étant souvent transitoires.

Les ressentis positifs et négatifs déclarés par ces patients sont présentés ci-dessous (**Tableau 7**).

Tableau 7. Ressentis des patients qui prennent actuellement 50 ou 100 mg/jour de Skyclarys (1 ou 2 gélules/jour)

Patient	Age (ans)	Durée AF (ans)	Durée du traitement (sem.)	Posologie	Ressentis (+)	Ressentis (-)	Changement vie sociale	Changement vie familiale	Autre changement	Changement observé/proche aidant
ambul.	18	6	NR	1 gélule	Meilleure coordination, Moins de fatigabilité	NR	NR	NR	NR	NR
ambul.	19	9	9	2 gélules	Non concerné(e)	Plus de fatigue, maux de ventre	NR	NR	Pas d'effets positifs constatés	NR
non ambul.	40	27	26	1 gélule	Non concerné(e)	NR	NR	NR	NR	NR

NR: Non Renseigné

Au total, 58 patients prennent actuellement la dose recommandée de Skyclarys de 3 gélules/jour (150 mg/jour) sans interruption dès le début du traitement.

Le restant de ce rapport se concentre sur les réponses fournies par ces 58 patients : 26 qui marchent avec ou sans aide et 32 en fauteuil roulant.

4.2 Ressentis des patients sur Skyclarys (150 mg/jour) sans interruption dès le début du traitement

Parmi les 26 patients ambulatoires (**Figure 1**), 19 déclarent ressentir des effets physiques positifs suite au traitement, 10 d'entre eux ont également signalé des effets négatifs, et 7 autres disent ne rien ressentir après ces quelques mois de traitement. Chez les 32 patients non ambulatoires, 22 ont déclaré ressentir des effets physiques positifs et parmi eux, 17 ont aussi rapporté des effets négatifs (**Tableau 10**). Dix (10) patients n'ont senti aucun effet.

En total, parmi les 58 patients, 41 (71%) ont senti des effets positifs, 27 (46%) ont aussi senti des effets négatifs, et 17 (29%) disent ne rien ressentir suite au traitement avec Skyclarys (**Tableau 8**).

¹ Lynch DR, Chin MP, Delatycki MB, et al. Safety and Efficacy of Omaveloxolone in Friedreich Ataxia (MOXIe Study). Ann Neurol. 2021;89(2):212-225. doi:10.1002/ana.25934.

Tableau 8. Nombre de personnes avec des ressentis physiques

Patients	Avec ressentis physiques (+)	Avec ressentis physiques (-)	Rien
Ambulatoire (n=26)	19 (73%)	10 (38%)	7 (27%)
Non ambulatoire (n=32)	22 (69%)	17 (53%)	10 (31%)
TOTAL (n=58)	41 (71%)	27 (46%)	17 (29%)

Certaines personnes qui ne ressentent rien, pensent qu’il est trop tôt par rapport au temps de prise (**Figure 2A**). Parmi les personnes qui ne ressentent rien, il y a un nombre plus important de personnes en FR, vivant avec la maladie depuis plus de 20 ans (**Figure 2B**).

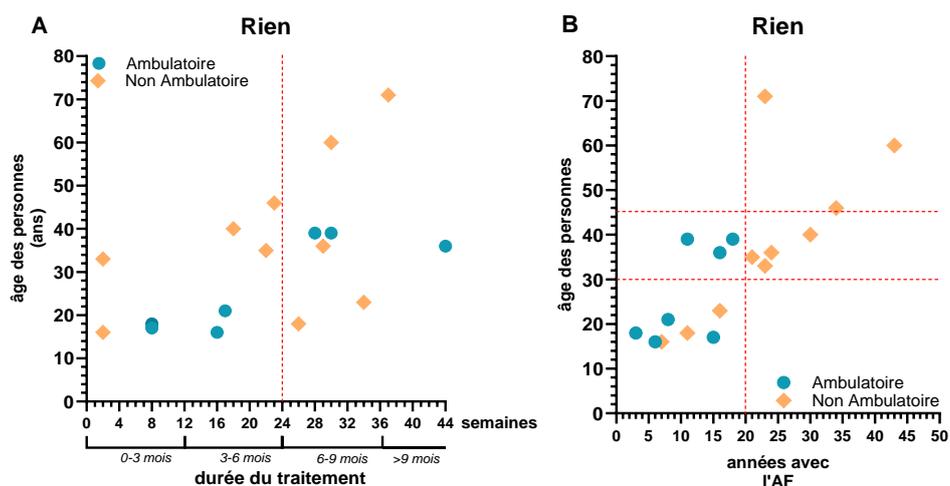


Figure 2. Nombre de personnes qui disent ne rien ressentir après le traitement avec Skyclarys en fonction de la durée du traitement et de la durée de l'AF.

A. En fonction du traitement : nombre de patients ambulatoires et non ambulatoires, après le traitement avec Skyclarys. Chaque symbole représente 1 patient. La durée du traitement est exprimée en semaines et en mois. La ligne pointillée rouge divise le graphique en deux parties : avant et après 6 mois de traitement. **B. En fonction de la durée de l'AF :** Chaque symbole représente 1 patient. Les lignes pointillées rouges permettent d'identifier la répartition des patients.

4.2.1 Ressentis physiques positifs les plus importants

Les personnes AF qui marchent avec ou sans aide ont principalement remarqué une amélioration de l'équilibre alors que les personnes non ambulatoires ont principalement remarqué une amélioration de l'élocution.

En deuxième position, toutes les personnes ont constaté une diminution de la fatigabilité.

L'amélioration de la motricité, bien que moins évidente chez les personnes non ambulatoires, a tout de même été évoquée, notamment l'amélioration de la motricité des membres supérieurs (**Figure 3**).

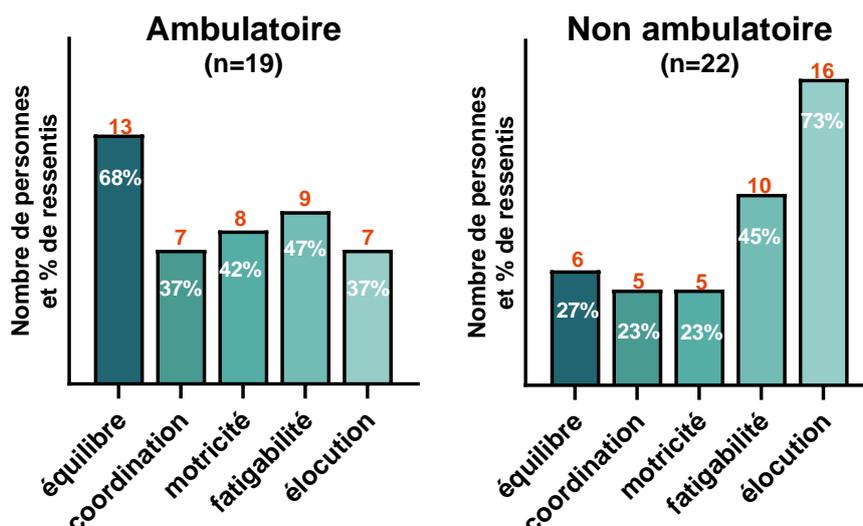


Figure 3. Ressentis physiques les plus importants chez les patients ambulatoires et non ambulatoires après le traitement avec Skyclarys

D'autres effets physiques positifs ont également été constatés (Tableau 9).

Tableau 9. Autres effets physiques positifs

Autres ressentis physiques (verbatim)
moins de fuite urinaire le matin
changements subtils sur la motricité fine en particulier de l'écriture
meilleure évolution d'une partie de ma musculature
moins de nystagmus
respiration plus facile
moins de crampes musculaires
moins de fausses routes

4.2.2 Apparition des améliorations en fonction de la durée du traitement

Sept (7) personnes qui peuvent marcher avec ou sans aide, ressentent des effets positifs sur **l'équilibre, la coordination et la motricité, après 3 mois de traitement**. La plupart des personnes (n=10-15), notamment toutes les personnes en FR, ont indiqué une **amélioration de l'aspect moteur après 6 mois de traitement** (Figure 4 A-C).

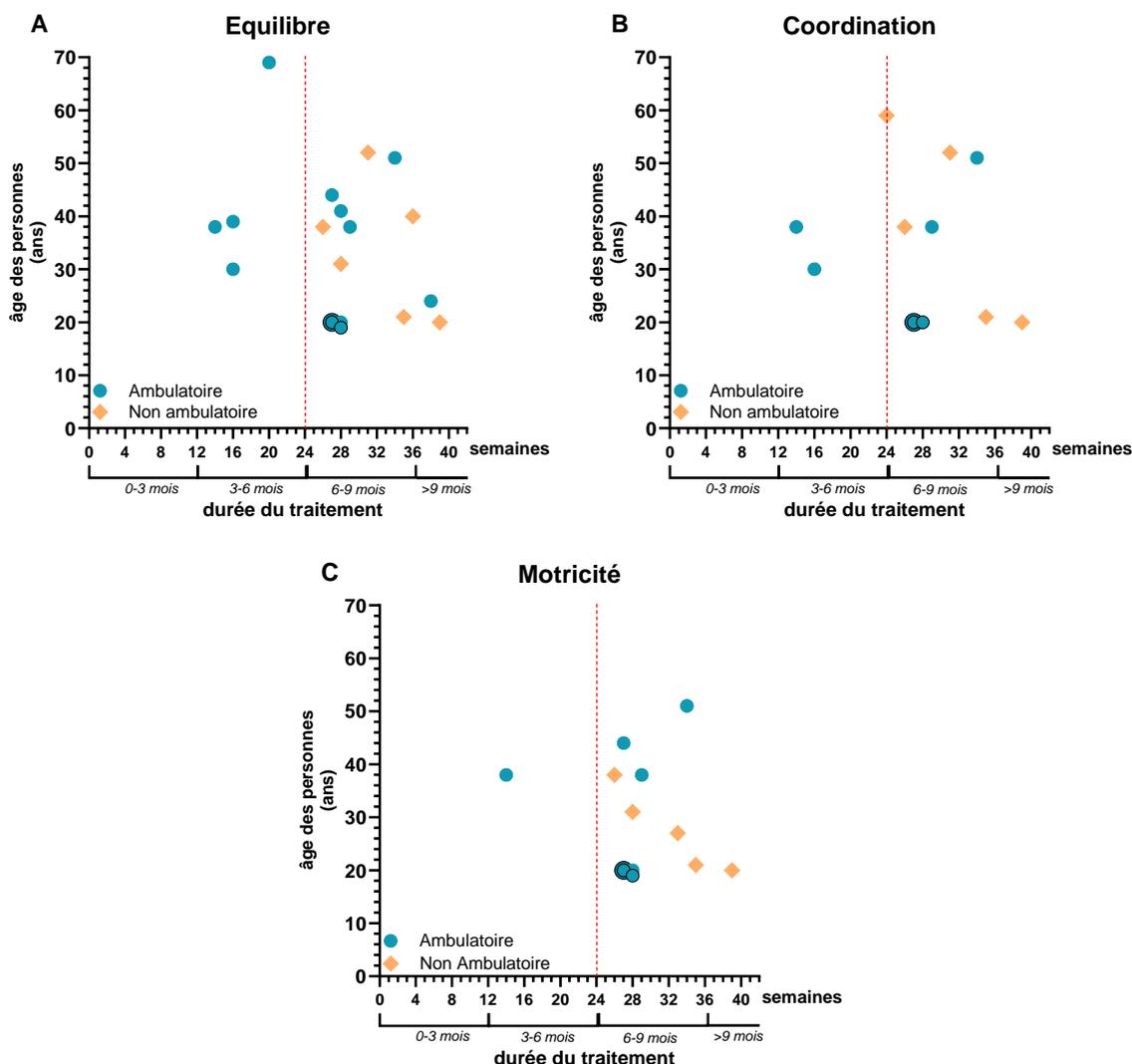


Figure 4. Amélioration de l'équilibre, de la coordination et de la motricité chez les patients ambulatoires et non ambulatoires, après le traitement avec Skylarys.
Chaque symbole représente 1 patient. La durée du traitement est exprimée en semaines et en mois. La ligne pointillée rouge divise le graphique en deux parties : avant et après 6 mois de traitement.

Une meilleure élocution a été observée après 4 mois de traitement par des personnes qui peuvent marcher et celles qui se déplacent en FR. Dix-neuf (19) personnes sur 23 (soit 83 %), ont constaté une amélioration de leur élocution après 6 mois de traitement. Ce progrès a été particulièrement évoqué par les patients en FR (n=14/19, 74%), (Figure 5A).

Certaines des personnes dont l'élocution s'était améliorée ont également signalé avoir **moins de fausses routes (Figure 5B).**

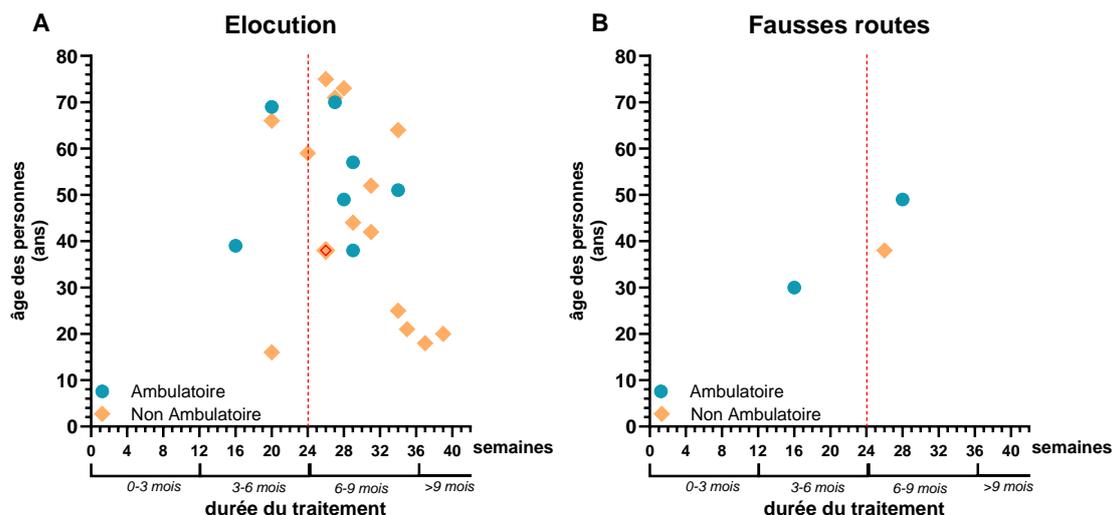


Figure 5. Amélioration de l'élocution et diminution de fausses routes chez les patients ambulatoires et non ambulatoires, après le traitement avec Skylarys.

Chaque symbole représente 1 patient. La durée du traitement est exprimée en semaines et en mois. La ligne pointillée rouge divise le graphique en deux parties : avant et après 6 mois de traitement.

La diminution de la fatigabilité a été ressentie par quelques personnes en FR avant 3 mois de traitement. La plupart des personnes en FR et toutes celles qui peuvent marcher ont constaté une diminution de la fatigue après 6 mois de traitement (Figure 6).

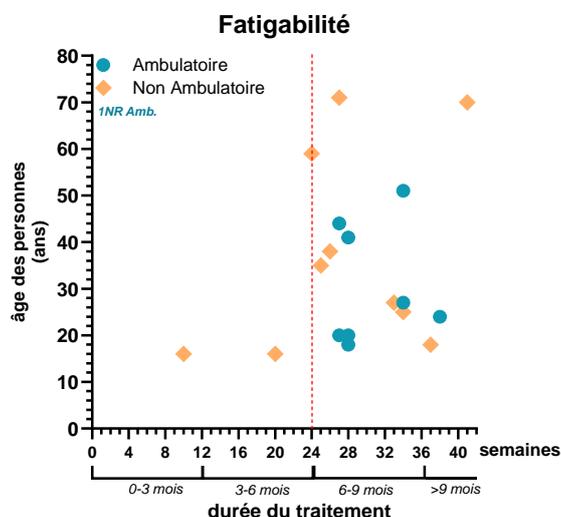


Figure 6. Diminution de la fatigue chez les patients ambulatoires et non ambulatoires, après le traitement avec Skylarys.

Chaque symbole représente 1 patient. La durée du traitement est exprimée en semaines et en mois. La ligne pointillée rouge divise le graphique en deux parties : avant et après 6 mois de traitement. NR : non renseigné.

4.2.3 Effets physiques positifs en fonction de l'âge et de la durée de la maladie

L'amélioration de l'équilibre, mais aussi de la coordination et la motricité, est davantage mise en évidence chez les personnes qui peuvent marcher, principalement les jeunes de moins de 30 ans qui ont passé moins de 12 ans avec la maladie, et les personnes entre 30 et 45 ans qui ont passé moins de 17 ans avec la maladie (Figure 7).

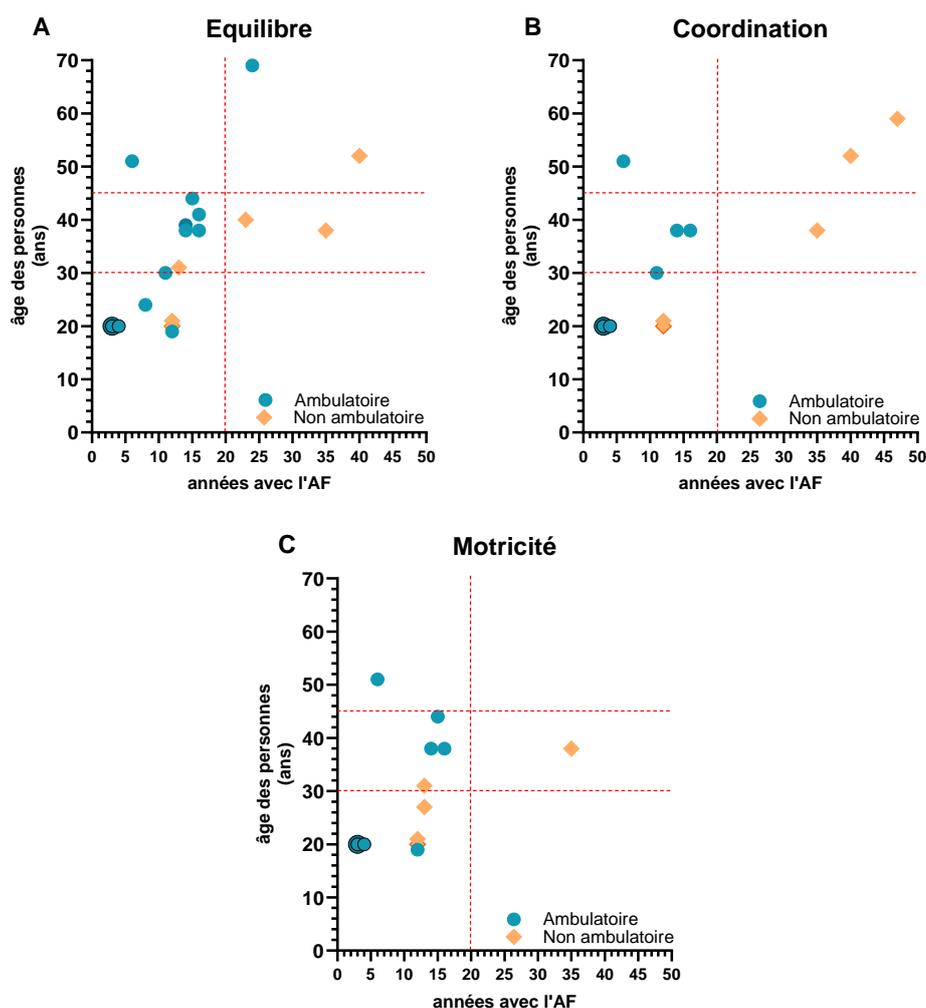


Figure 7. Amélioration de l'équilibre, de la coordination et de la motricité chez les patients ambulatoires et non ambulatoires en fonction de leur âge et de la durée de l'AF.
Chaque symbole représente 1 patient. Les lignes pointillées rouges permettent d'identifier la répartition des patients.

En ce qui concerne **l'élocution**, les patients qui se déplacent en FR ont notamment constaté une **amélioration de leur parole**.

Deux types de populations, pour une part, des jeunes de moins de 30 ans ayant passé moins de 17 ans avec la maladie, et d'autre part, les personnes de plus de 36 ans mais aussi plus âgés, qui ont vécu de 20 à presque 50 ans avec la maladie !

Parmi les personnes de plus de 36 ans qui peuvent marcher, la plupart ayant moins de 17 ans de maladie, ont également remarqué une amélioration de l'élocution (**Figure 8A**).

Certaines personnes, ayant été malades pendant 25 ans ou plus, ont remarqué une amélioration de leurs problèmes de **fausses routes** (**Figure 8B**).

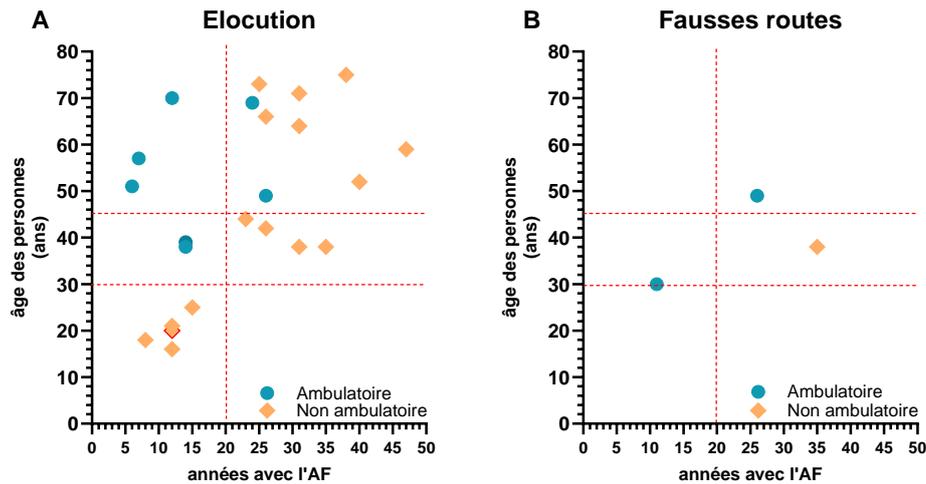


Figure 8. Amélioration de l'élocution et diminution de fausses routes chez les patients ambulatoires et non ambulatoires en fonction de leur âge et de la durée de l'AF.
Chaque symbole représente 1 patient. Les lignes pointillées rouges permettent d'identifier la répartition des patients.

La diminution de la fatigabilité a été remarquée par des personnes qui peuvent marcher et par des personnes en FR de tous âges, mais surtout par des jeunes de moins de 30 ans qui ont passé moins de 17 ans avec la maladie (Figure 9).

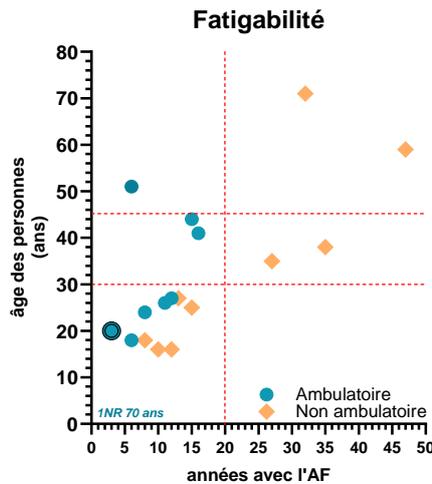


Figure 9. Diminution de la fatigabilité chez les patients ambulatoires et non ambulatoires en fonction de leur âge et de la durée de l'AF.
Chaque symbole représente 1 patient. Les lignes pointillées rouges permettent d'identifier la répartition des patients.

4.2.4 Effets physiques négatifs

Nous avons interrogé les adhérents pour savoir quels sont les ressentis négatifs qu'ils ont remarqués depuis la prise du traitement. Parmi les 58 patients sous Skyclarys, 27 ont observé des effets négatifs. Ces effets négatifs ont notamment été plus nombreux et variés chez les personnes en FR, et certains n'ont été observés qu'au tout début du traitement (Tableau 10).

Tableau 10. Effets physiques négatifs

Ressentis négatifs (verbatim)	
Ambulatoire (n=26)	Non ambulatoire (n=32)
1-Problèmes digestifs, nausées et fatigue	1-Des problèmes intestinaux
2-Fatigue	2-Constipation
3-Un peu de saignement de nez	3-Quelques fois fatigabilité
4-Saignements de nez	4-Contrainte de réveil 1 h plus tôt
5-Fatigue le matin	5-Doublement du cholestérol LDL et traitement associé
6-Quelques saignements de nez	6-Déprime
7-Je dois faire attention à ce que je mange	7-Prise de 3kg
8-J'ai eu une période de 2/3 semaines où quand j'allais aux toilettes, c'était mou et décomposé	8-Grosse douleur dans les membres supérieurs mais je ne sais pas si ça provient de la prise du médicament
9-Quelques mots de ventre dans les premiers mois et beaucoup de fatigue	9-Aller plus souvent à la selle. Très fatigué au début de la prise pendant quelques semaines
10-Au début rougeurs au niveau articulations. Maux tête mais disparus au bout de 3 semaines. Un peu plus fatiguée le soir	10-J'ai l'impression d'avoir moins de coordinations plus les prises de sang montrent une fatigabilité de mon foie
	11-Resultats prise de sang variables donc je sais pas trop quoi faire pour le régime alimentaire
	12-Grosse contrainte 1h avant le petit déjeuner le fait me lever à 5h30. Les maux de ventre sont nombreux et désagréables. Souvent des nausées et douleurs côté droit (intestins), transit devenu complexe...
	13-Narcolepsies jour et nuit (insomniaque), migraines pendant 3/4 mois. Mieux maintenant. Envie d'uriner plus fréquente, moins contrôlable. Troubles de l'humeur.
	14-Problèmes gastriques compensés par prise d'immodium et adaptation du régime alimentaire
	15-Très "vaseuse" en début de traitement: nauséuse, vertigineuse, perte d'appétit; persiste la perte d'appétit
	16-Explosion de la sensibilité et donc des spasmes, réactions dès que mes infirmières touchent mes pieds ou mes flancs
	17-Constipation pendant 2 mois. Reprise des règles malgré pillule progestatif Optimizette, légère pendant 3 mois puis un peu plus et depuis 1,5 mois tous les 15 jours ! En attente de voir gynécologue et sûrement poser stérilet hormonal pour effet local...

4.2.5 Effets ressentis par les jeunes de 16 -17 ans

Parmi les 5 jeunes de 16-17 ans qui ont commencé le traitement avec Skyclarys en 2024, 2 indiquent ressentir des effets positifs après 10 et 20 semaines de traitement (Tableau 11).

Tableau 11. Effets physiques positifs de jeunes de 16-17 ans

Durée du Traitement (sem)	Age	Déplacement	Ressentis physiques positifs (verbatim)	Commentaires (verbatim)	Espoirs (verbatim)
2	16	non ambulatoire	Rien	Skyclarys progressivement depuis fin octobre, il est trop tôt pour répondre à ces questions.	
8	17	ambulatoire	Rien	Skyclarys pas depuis assez longtemps pour constater des changements significatifs.	
10	16	non ambulatoire	Moins de fatigue	Plus d'énergie. Plus de motivation pour faire les devoirs et obtenir de bonnes notes à l'école.	
16	16	ambulatoire	Rien		Amélioration de l'équilibre et de la marche.
20	16	non ambulatoire	Meilleure élocution: je parle plus qu'avant. Moins de fatigue	Je participe plus à la vie (famille, amis) car je m'exprime mieux.	D'être encore un peu moins fatigué, mais là je suis bien déjà. Améliorer la coordination de mes mains. Avoir plus de souffle. Mieux entendre quand il y a du bruit.

4.2.6 Impact des effets physiques positifs dans vie quotidienne

Parmi les 58 personnes AF, **27 ont constaté des changements dans leurs études, travail, vie sociale ou vie de famille (Tableau 12).**

Tableau 12. Changements dans la vie quotidienne

Changements dans la vie quotidienne	Nombre de personnes AF	
	Oui	Non ou NR
Changements dans les études/travail	9	49
Changements dans la vie sociale ou vie familiale	18	40
Nombre total (%)	27 (47%)	31 (53%)

NR : non renseigné

Les verbatims suivants témoignent de l'importance des bénéfices apportés par le traitement aux patients.

Changements dans les études ou travail :

- Plus de motivation et de travail à l'école
- Moins de fatigue donc plus de motivations pour le travail
- Je peux réaliser mes stages avec beaucoup moins de fatigue
- Plus de facilités pour l'informatique, moins de fatigue, moins de difficultés d'élocution
- L'amélioration de l'élocution est un plus au téléphone. Moins de fatigue = plus de productivité. Plus de moral = plus d'enthousiasme
- Je travaille plus
- Je suis plus confiante dans mes déplacements

Changements dans vie sociale ou vie familiale :

- Je participe plus à la vie (famille, amis) car je m'exprime mieux
- Je suis plus présente lors des réunions de famille
- Meilleure élocution permettant d'éviter de se répéter et de se replier sur soi-même
- Meilleure élocution donc meilleure communication
- Plus facile à communiquer oralement
- Plus facile de me faire comprendre au téléphone, plus combative pour gérer les problèmes administratifs
- J'arrive mieux à jouer aux cartes d'échappement avec les autres et leur parle plus facilement
- Je me sens plus détendue, moins de stress et de surveillance pour ma famille lors des repas
- Je peux sortir un peu plus avec mes amis sans ressentir la fatigue qui me submerge
- Je peux faire plus de choses en dehors de chez moi sans être fatiguée
- Plus d'envie de moment convivial car moins de fatigue difficile à gérer le lendemain
- Rester valide permet de maintenir les sorties avec amis. Quand on n'est pas maître de ses mouvements, on s'interdit forcément des activités
- Je remets la table
- Plus de facilités pour manipuler mon joystick et pour pousser manuellement le fauteuil dans la maison ainsi que pour manipuler la souris de mon ordinateur
- Je fais plus de trajets à pied seule, sans aide
- Plus rapide pour les actes de la vie quotidienne : toilette, repas
- Regard des autres
- L'envie de me battre et engager des projets

4.2.7 Espoirs

Les principaux espoirs restent de ralentir la progression de la maladie, surtout exprimée par les personnes en FR, et d’améliorer l’aspect moteur. Des personnes qui peuvent encore marcher et celles qui sont en FR espèrent que le médicament pourra continuer à être délivré (**Tableau 13**).

Tableau 13. Espoirs des patients concernant les aspects moteurs, la maladie et le Skylarys

	Espoirs des patients ambulatoires	Espoirs des patients non ambulatoires
Aspect moteur	Amélioration de l'équilibre et de la marche Récupérer plus d'équilibre, de motricité et de coordination Une amélioration de mon équilibre et de ma coordination Améliorer la marche Perdre moins l'équilibre donc marcher mieux Me déplacer dans la maison sans aide... Que je puisse remarcher normalement Pouvoir mieux marcher sans perdre l'équilibre Réussir à améliorer ma marche avec ou sans aide Marcher plus facilement	Améliorer la coordination de mes mains. Avoir plus de souffle. Mieux entendre quand il y a du bruit. Etre encore un peu moins fatigué, mais là je suis bien déjà. Améliorer ma coordination et mon état physique Améliorer l'équilibre et la marche pour moins de douleurs Garder mes progrès gym et plus d'évolution... Une amélioration à la marche et moins de douleurs musculaires moins de fatigue et plus d'endurance Une amélioration de mon équilibre et de ma mobilité en général Diminuer voir abolir les problèmes d'équilibre Position debout sans me tenir et amélioration de la marche. Réussir à remuscler le bas du corps
La maladie	Que la maladie ralentisse Que ça stop l'évolution Ralentir l'évolution de la maladie car je suis encore complètement autonome dans la vie au quotidien Que cela arrive a stagner la maladie et qu'avec un sport régulier, que je puisse m'améliorer Stabilisation de la maladie, voire une amélioration Continuer à freiner le développement de la maladie Arriver à bloquer l'évolution de la maladie Que le skylarys permette de ralentir l'évolution de la maladie en attendant qu'un autre médicament plus Je veux guérir	L'espoir de continuer d'avoir mon autonomie un maximum Que le médicament stabilise mon état Stabilisation en attente d'autres traitements Pas beaucoup d'espoir car pas envie d'être déçu et dévasté donc on verra mais si les symptômes arrêtent de s'aggraver c'est une victoire. Des effets positifs De moins vite me dégrader J'espère que ça va freiner mon évolution Que le skylarys continue d'améliorer mon état de santé Espoir de ralentir l'évolution de la maladie Stopper Stopper l'évolution sur les aspects pouvant limiter les interactions sociales Que cela s'améliore encore plus De l'amélioration au niveau auditif, retenir plus les mictions, reprendre à me soulever plus pour m'habiller et transférer à nouveau avec l'appui plantaire Que les narcolepsies s'allègent, voire disparaissent. Regain d'énergie. Voir l'évolution de la maladie se stabiliser J'espère que l'aggravation sera plus lente Actuellement peu d'espoir
Le Skylarys	J'espère que ces effets positifs vont perdurer et qu'il y en Que le médicament puisse continuer à être délivré Que le médicament continue	J'attendais beaucoup de ce traitement Beaucoup d'espoir avec la prise de ce nouveau traitement

4.3 Niveau de satisfaction

Au global **45 personnes sur 62** se déclarent satisfaites (**Figure 10**).

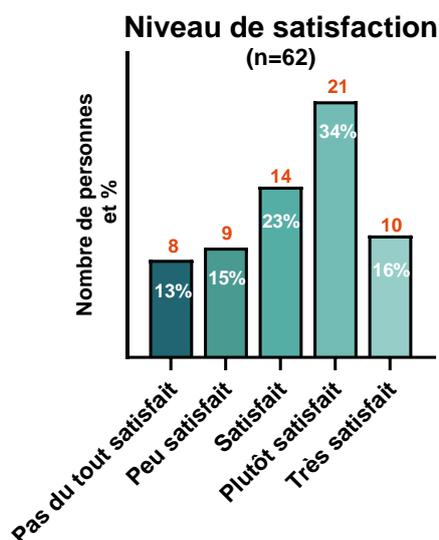


Figure 10. Niveau de satisfaction des personnes qui n’ont pas arrêté le traitement avec Skylarys

5 Conclusions

Cette enquête auprès de nos adhérents a permis de recueillir des témoignages en vie réelle concernant l'exposition au Skyclarys (omaveloxolone), traitement disponible en Accès Précoce en France depuis décembre 2023, dans le traitement de l'AF pour les personnes de plus de 16 ans.

Dans notre enquête, plus de la moitié des répondants sont non ambulatoires (56%), contrairement à la population des études MOXle et MOXle-extension (à 95 % ambulatoires).

Ainsi, cette enquête en vie réelle suggère des ressentis communs et d'autres différents selon le statut ambulatoire ou non ambulatoire.

- Les ressentis majeurs après le traitement avec Skyclarys seraient :
 - **La diminution de la fatigabilité** exprimée par les 2 catégories de populations, ambulatoires et non ambulatoires
 - **Principalement l'équilibre chez ceux qui marchent**
 - **Principalement l'élocution chez les patients non ambulatoires**
- L'amélioration de l'élocution et moins de fatigabilité sont facteurs majeurs de qualité de vie.
- **Le fait que ces améliorations soient constatées par les patients principalement après 6 mois de traitement peut suggérer que l'effet purement "placebo" soit limité.**
- Ces améliorations ont un impact positif sur le maintien de l'autonomie dans certains actes de la vie quotidienne, dans les interactions sociales et la communication (être compris et se faire comprendre), et au niveau psychologique (regain de motivation, moral).
- Sur 68 personnes exposées au Skyclarys, les effets secondaires négatifs rapportés ont amené l'arrêt du traitement pour 6 personnes (9%) et une modification de posologie pour 3 personnes.
- Les patients se déclarent très heureux d'avoir accès à ce traitement qui permet une meilleure vie sociale et génère de l'espoir.

Ces premières données en vie réelle traduisent en plus des aspects neurologiques espérés tels que les améliorations de la coordination ou de l'équilibre, des améliorations de symptômes majeurs dans la qualité de vie, comme la moindre fatigabilité et une meilleure élocution. Il nous semble important de tenir compte des critères initialement peu prévisibles comme l'élocution dans la population non ambulatoire.

Il serait utile de compléter cette première enquête en vie réelle par une seconde de plus grande ampleur, bien sûr avec un recul plus important de prise de Skyclarys d'un an et plus, pour conforter les premiers ressentis en vie réelle.

6 Annexe Questionnaire Enquête Skyclarys

1- Quel est votre sexe ?

- Féminin
 Masculin
 Je ne souhaite pas le préciser

2- Quel âge avez-vous ?

3- A quel âge sont apparus les premiers symptômes de l'AF ?

4- A quel âge avez-vous été diagnostiqué(e) AF ?

5- Quel est votre moyen de déplacement le plus fréquent ?

- Je marche sans aide
 Je marche avec une aide humaine
 Je marche avec un déambulateur
 Je me déplace non ambulatoires manuel
 Je me déplace non ambulatoires électrique
 autre :

6- Prenez-vous le Skyclarys ?

- Oui - Continuez de remplir l'ensemble du questionnaire jusqu'à la question 20
 Non - Répondez uniquement à la question suivante 7

7- Pour quelles raisons ne prenez-vous pas le Skyclarys ?

- Non éligible car moins de 16 ans
 Contre indiqué avec mes problèmes cardiaques
 Contre indiqué, je suis enceinte
 Pas convaincu des bénéfices
 Redoute les effets secondaires
 Pas connaissance de neurologue pour le prescrire
 Autre :

8- Depuis quand prenez-vous le Skyclarys ?

9- Avez-vous arrêté de prendre le Skyclarys depuis ?

- Oui - Répondez aux questions 9.1 et 9.2
 Non - Allez directement à la question numéro 10

9.1- Si OUI, depuis quand avez-vous arrêté de prendre le Skyclarys ?

9.2- Si OUI, pourquoi avez-vous arrêté de prendre le Skyclarys ?

10- Quelles sont les conditions de prescription suivies actuellement ?

- 3 gélules/jour le matin à jeun, 1 heure avant le petit déjeuner
- 3 gélules/jour le matin, 2 heures après le petit déjeuner
- 2 gélules/jour le matin à jeun, 1 heure avant le petit déjeuner
- 2 gélules/jour le matin, 2 heures après le petit déjeuner
- 1 gélule/jour le matin à jeun, 1 heure avant le petit déjeuner
- 1 gélule/jour le matin, 2 heures après le petit déjeuner
- Autre :

11- Quels sont les ressentis physiques positifs les plus importants que vous remarquez depuis la prise du Skylarys ?

- Amélioration de l'équilibre
- Meilleure coordination
- Meilleure motricité (exemple: je fais plus de pas)
- Meilleure élocution
- Moins de fatigabilité
- Autre :
- Non concerné(e)

11.1- Commentaire éventuel, Expliquer par des exemples de votre quotidien

12- Quels sont les autres ressentis positifs que vous remarquez depuis la prise du Skylarys ?

Expliquer par des exemples de votre quotidien

13- Quels sont les ressentis négatifs que vous remarquez depuis la prise du Skylarys ? Expliquer par des exemples de votre quotidien

14- Avez-vous constaté des changements dans vos études ou votre travail depuis votre prise de Skylarys ?

- Oui
- Non

14.1- Si OUI, lesquels ? Expliquer par des exemples de votre quotidien

15- Avez-vous constaté des changements dans votre vie sociale depuis votre prise de Skylarys ?

- Oui
- Non

15.1- Si OUI, lesquels ? Expliquer par des exemples de votre quotidien

16- Avez-vous constaté des changements dans votre vie familiale depuis votre prise de Skylarys ?

- Oui
- Non

16.1- Si OUI, lesquels ? Expliquer par des exemples de votre quotidien

17 - Avez-vous remarqué d'autres changements dans votre vie quotidienne ?

- Oui

Non

17.1- Si OUI, lesquels ? Expliquez par des exemples de votre quotidien

18- Quels sont vos espoirs ?

19- Diriez-vous que le Skyclarys améliore un peu votre qualité de vie ? Votre envie de faire des projets ?

Oui

Non

19.1- Commentaire éventuel

20 - Au global, êtes-vous satisfait(e) du Skyclarys ?

Non, pas du tout satisfait

Peut satisfait

Satisfait

Plutôt satisfait

Très satisfait

Votre aidant a la possibilité de s'exprimer ci-dessous sur ce qu'il remarque depuis votre prise de Skyclarys.

21- Quels changements observez-vous chez votre proche ? Expliquez par des exemples de son quotidien