Association Française de l'Ataxie de Friedreich (AFAF)

VOIX DES PATIENTS

TÉMOIGNAGES DE PATIENTS SOUS SKYCLARYS
(OMAVELOXOLONE)

RESSENTIS EN VIE REELLE
AVANT ET APRES 1 AN DE TRAITEMENT

ENQUÊTE RÉALISÉE EN JUIN 2025

RAPPORT

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

1 Introduction 5
2 Objectif 5
3 Méthode 5
4 Résultats 5
4.1 Caractéristiques de répondants 5
4.2 Ressentis des patients sous Skyclarys pendant 0 – 73 semaines 7
4.3 Ressentis de patients en fonction de la durée du traitement 10
4.3.1 Elocution 11
4.3.2 Fatigabilité 11
Plan moteur : Equilibre, Coordination, Motricité, Préhension 12
4.3.3 Equilibre 13
4.3.4 Coordination 13
4.3.5 Motricité 14
4.3.6 Préhension 15
Autres aspects 15
4.3.7 Fausses routes 15
4.3.8 Incontinence urinaire 16
4.3.9 Nystagmus ou troubles de la vision 17
4.3.10 Sensations douloureuses 18
4.4 Effets négatifs ressentis par les patients sous Skyclarys 22
4.5 Prise des médicaments et autres traitements 24
4.6 Perception de l'évolution de la maladie 26
4.7 Stabilisation de la maladie 27
4.8 Amélioration de la Qualité de vie 30
4.9 Espoirs 36
4.10 Niveau de satisfaction 38
5 Conclusions 39
6 Annexe Questionnaire Enquête Skyclarys 40

Liste des tableaux

Tableau 1: Caractéristiques de répondants. 6
Tableau 2: Nombre de gélules prises par jour et nombre de patients qui ont interrompu temporairement le traitement. 7
Tableau 3: Motifs d'arrêt du Skyclarys. 7
Tableau 4: Patients concernés considérés pour l'analyse. 8
Tableau 5: Apparition de l'amélioration. 9
Tableau 6: Détail des réponses des patients concernant l'apparition d'une amélioration des différents aspects de la maladie. 10
Tableau 7: Verbatims de personnes ambulatoires et non ambulatoires sur leur ressenti à moins ou plus d'un an de traitement avec Skyclarys. 19
Tableau 8: Verbatims exprimés concernant les ressentis négatifs. 23
Tableau 9: Nombre de patients qui prennent également d'autres médicaments. 24
Tableau 10: Perception de la maladie. 26
Tableau 11: Caractéristiques des adhérents qui ont répondu sur certains effets de la maladie dans les deux enquêtes réalisées par AFAF 2024 et 2025. 28
Tableau 12: Perception de la stabilisation de l'élocution en fonction des réponses des adhérents AFAF aux questionnaires AFAF de 2024 et 2025. 29
Tableau 13: Perception de la stabilisation de la fatigabilité en fonction des réponses des adhérents AFAF aux questionnaires AFAF de 2024 et 2025. 29
Tableau 14: Perception de la stabilisation de l'équilibre, la motricité et la coordination en fonction des réponses des adhérents AFAF aux questionnaires AFAF de 2024 et 2025. 30
Tableau 15: Changements dans la qualité de vie. 31
Tableau 16: Verbatims exprimés concernant la Qualité de Vie. 32
Tableau 17: Amélioration de la qualité de vie. 35
Tableau 18: Espoirs des patients concernant les aspects moteurs, la maladie et le Skyclarys. 36

Liste des figures

Figure 1. Caractéristiques de répondants 6
Figure 2. Caractéristiques des adhérents qui ont aussi répondu au questionnaire AFAF en octobre 2024 6
Figure 3. Effets constatés sur la fatigabilité, l'équilibre, la coordination, la motricité, la préhension, l'élocution, les fausses routes, l'incontinence urinaire, le nystagmus ou la vision et les sensations douloureuses. 8
Figure 4. Élocution 11
Figure 5. Fatigabilité 12
Figure 6. Équilibre (station debout pour les marchants, du tronc pour ceux en fauteuil) 13
Figure 7. Coordination 14
Figure 8. Motricité 14
Figure 9. Préhension 15
Figure 10. Fausses routes 16
Figure 11. Incontinence urinaire 17
Figure 12. Nystagmus ou troubles de la vision 18
Figure 13. Sensations douloureuses 18
Figure 14. Effets négatifs. 22
Figure 15. Perception de la dégradation, amélioration ou stabilisation de la maladie. 27
Figure 16. Changements dans la qualité de vie depuis la prise du Skyclarys. 32
Figure 17. Amélioration dans la qualité de vie depuis la prise du Skyclarys 36
Figure 18. Niveau de satisfaction. 38

1 Introduction

Le Skyclarys (omaveloxolone) est un médicament disponible en Accès Précoce en France depuis décembre 2023 dans le traitement de l'ataxie de Friedreich (AF) pour les plus de 16 ans.
Le conseil d'administration de l'AFAF a souhaité connaître l'impact à long terme du traitement par Skyclarys, chez des personnes atteintes de l'AF afin d'apporter de nouveaux éléments de vie réelle.
Cette démarche de représentation de la Voix des patients, nous semble en effet complémentaire des analyses scientifiques réalisées par Biogen ou par les neurologues grâce aux données quantitatives renseignées dans BaMaRa.

2 Objectif

Afin d'apporter un éclairage sur **l'expérience vécue en vie réelle**, nous avons recueilli les ressentis des patients sous traitement Skyclarys ainsi que l'avis de leurs proches, à partir d'exemples concrets.

3 Méthode

Il s'agit d'une enquête quantitative auprès de personnes concernées par l'AF, adhérentes ou non à l'AFAF et qui ont accepté de manière volontaire et anonyme de répondre à un questionnaire sur leur ressenti suite au traitement avec le Skyclarys.

Etapes :

1) Création d'un questionnaire en ligne (voir Annexe Questionnaire Enquête Skyclarys) 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, date et causes en cas d'arrêt, motifs en cas de non-accès au traitement…
- Questions sur différents aspects de la maladie, en leur proposant les choix de réponses suivants : Amélioration / Dégradation / Ni l'un, ni l'autre / Non concerné.
- Questions ouvertes : sur leurs ressentis, leurs espoirs, la qualité de vie...

2) Campagne de diffusion du lien vers le questionnaire en ligne : auprès des adhérents AFAF et via les réseaux sociaux de l'association, par mailing, le 4 juin 2025, puis 2 relances (18 & 30 juin). Les volontaires ont été invités à répondre à une série de questions. Le recueil des réponses s'est fait à l'aide de la plateforme LimeSurvey jusqu'au 11 juillet 2025.

3) Les réponses ont été collectées entre le 04 juin et 11 juillet 2025, soit après 0-73 semaines de traitement.

4 Résultats

4.1 Caractéristiques de répondants

On estime environ 1300 personnes atteintes de AF en France. En juillet 2025, 441 patients (~1/3 de malades AF en France), étaient sous traitement au Skyclarys. Un total de 142 patients AF (adhérents et non adhérents à l'AFAF) ont répondu à notre enquête, ce qui représente 11% de personnes AF en France (**Figure 1**).
Parmi eux, 139 ont répondu à l'ensemble des questions, et 3 répondants ont fourni des réponses incomplètes qui ne peuvent pas être incluses dans le **Tableau 1**.
Ces patients vivent avec la maladie en moyenne depuis 20 ans. Les patients actuellement non ambulatoires sont un peu plus nombreux (64%) que ceux qui peuvent encore marcher avec ou sans aide (36%) (**Tableau 1**).

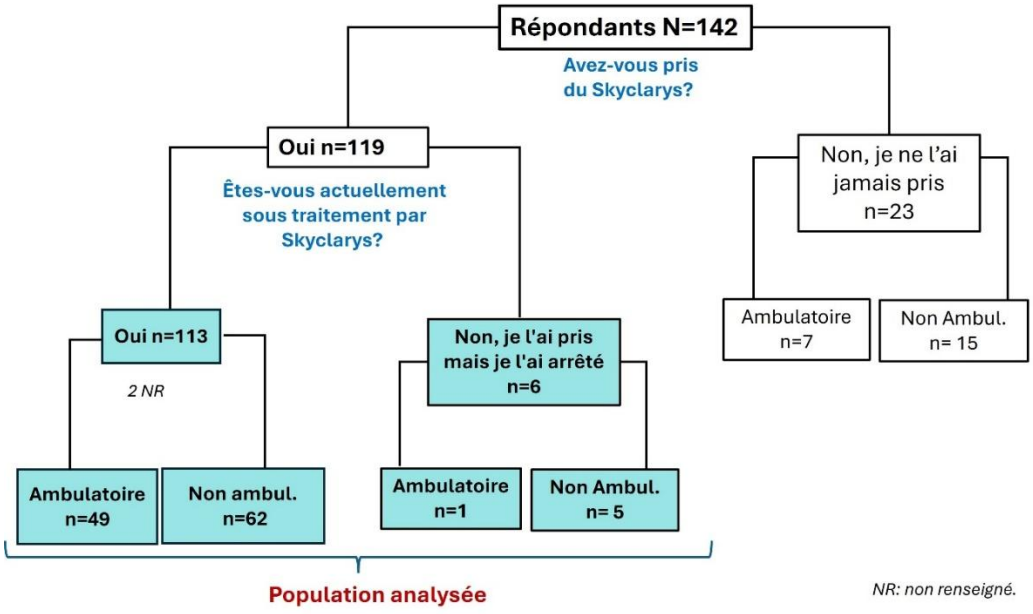


Figure 1. Caractéristiques de répondants

Tableau 1: Caractéristiques de répondants.

Caractéristiques de répondants	N=139¤
Femmes n	84 (60%)
Hommes n (%)	56 (40%)
Préfère ne pas préciser	1
Age (années)*	37,09 (16,42)
Median (min-max)	36 (12-76)
Age de premiers symptôms (années)*	17,34 (11,7)
Age au diagnostic (années)*	20,98 (13,47)
Durée de la maladie (années)*	20,21 (11,99)
Ambulatoire / Non ambulatoire n (%)	50 (35,97) / 66 (64,03)
Age (années)*	33,6 (14,74)/ 38,6 (15,75)
Median (min-max)	31,5 (16-69)/ 36 (16-76)

* moyenne (écart-type)

¤ Informations fournies par 139 patients

Parmi les répondants, 68 ont aussi répondu à l'enquête réalisée par l'AFAF en octobre 2024 (**Figure 2**).

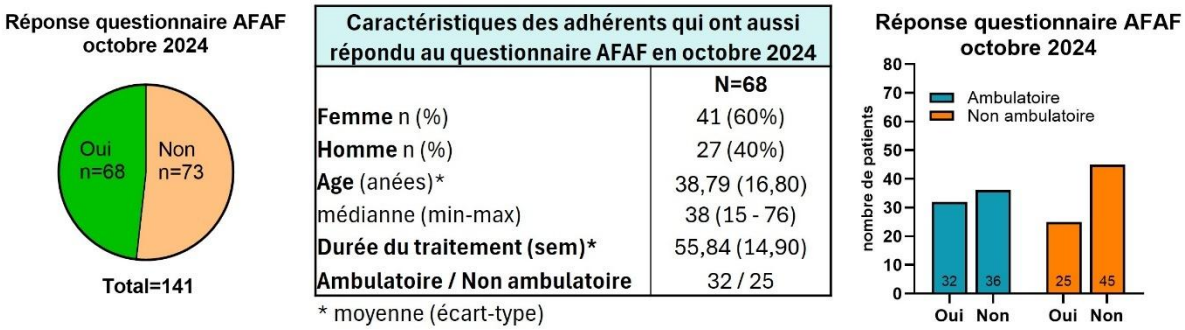


Figure 2. Caractéristiques des adhérents qui ont aussi répondu au questionnaire AFAF en octobre 2024

Sur un total de 142 patients AF qui ont répondu au questionnaire (**Figure 1**), 119 sont sous traitement de Skyclarys ou l'ont suivi mais ont dû l'arrêter définitivement **(Tableau 3**). **Ces patients représentent 27% de patients sous traitement Skyclarys en France.** La plupart des patients (84%) prennent ou ont pris 3 gélules. De même, 84% n'ont jamais interrompu leur traitement (**Tableau 2**).

Tableau 2: Nombre de gélules prises par jour et nombre de patients qui ont interrompu temporairement le traitement.
Informations fournies par 119 patients.

Posologie	Nombre (%) de patients
1 gélule/ jour	2 (1,7%)
2 gélules/ jour	4 (3,4%)
3 gélules/ jour	100 (84%)
NR	13 (10,9%)

Interruption temporaire du Skyclarys		
Oui=15 (12,6%)	**Non**=100 (84%)	NR=4 (3,4)

NR: non renseigné

Parmi les 119 personnes ayant pris le Skyclarys (**Figure 1**), 113 (94,96%) sont actuellement sous traitement et 6 (5,04%) l'ont suivi mais ont dû l'arrêter (**Tableau 3**).

Tableau 3: Motifs d'arrêt du Skyclarys.

Patient	Age (ans)	Durée AF (ans)	Durée du traitement (sem.)	Motif de l'arrêt (verbatims)
Non amb.	43	22	15	Je n'avais que des effets secondaires
Ambulatoire	58	22	33	Infections urinaires à répétition. Grosses douleurs à la vessie. Majoration de l'incontinence
Non amb.	44	34	37	Problème cardiaque
Non amb.	21	12	45	Inflammation muscle cardiaque : myocardie
Non amb.	26	11	NR	
Non amb.	52	28	NR	

NR : Non Renseigné

Les résultats ci-dessous se basent sur les réponses fournies par ces 119 patients : **50** patients qui marchent avec ou sans aide (**ambulatoires**), **67** patients qui se déplacent en fauteuil roulant (**non ambulatoires**) et 2 patients qui n'ont pas précisé leur état ambulatoire (**Figure 1**).

4.2 Ressentis des patients sous Skyclarys pendant 0 – 73 semaines

Nous avons reçu des réponses de patients qui ont été traités avec Skyclarys pour moins de 1 semaine (considérés comme 0 semaine complète de traitement) jusqu'à 73 semaines de traitement.
Nous avons demandé s'ils avaient constaté des effets sur différents aspects de la maladie, en leur proposant les choix de réponses suivants : Amélioration / Dégradation / Ni l'un, ni l'autre / Non concerné.

Seulement les patients concernés par des difficultés dans ces aspects de la maladie ont été considérés pour l'analyse.

Les personnes non concernées (qui ont choisi l'option "Non concerné") ou qui n'ont pas précisé de réponse n'ont pas été incluses (**Tableau 4**).

Tableau 4: Patients concernés considérés pour l'analyse.

Patients concernés par des difficultés dans les domaines suivants :	Population analysée	
	Ambulatoire (n=50)	Non ambulatoire (n=67)
Fatigabilité	80% (n=40)	79% (n=53)
Motricité	74% (n=37)	78% (n=52)
Equilibre	82% (n=41)	75% (n=50)
Coordination	78% (n=39)	79% (n=53)
Préhension	72% (n=36)	76% (n=51)
Elocution	72% (n=36)	78% (n=52)
Fausses routes	58% (n=29)	73% (n=49)
Nystagmus & vision	56% (n=28)	58% (n=39)
Incontinence urinaire	36% (n=18)	55% (n=37)
Sensations douloureuses	60% (n=30)	60% (n=40)

Sans surprise, les problèmes d'équilibre apparaissent comme la difficulté la plus ressentie par la plupart des patients ambulatoires (82%), suivi par la fatigue (80%) et les troubles de coordination (78%). Chez les patients non ambulatoires, la fatigue et les problèmes de coordination occupent la première place (79%) suivis par les troubles de motricité et d'élocution (78%). Plus de la moitié des patients soit ambulatoires ou non ambulatoires (60% et 60%) se sentent concernés par des sensations de douleur (**Tableau 4**).

Parmi l'ensemble de patients traités avec Skyclarys, les répondants respectivement ambulatoires et non ambulatoires, ont principalement constaté une amélioration de leur **Elocution (44% et 67%), Fatigabilité (35% et 28%), Motricité (35% et 31%), Coordination (33% et 26%), Equilibre (29% et 32%), Préhension (25% et 33%) et Fausses routes (38% et 29%) (Figure 3).**

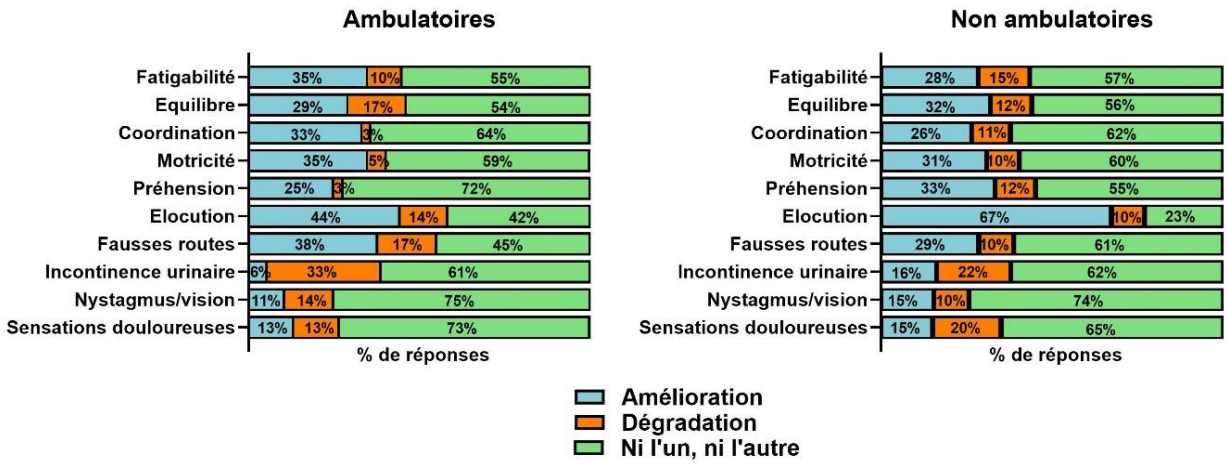


Figure 3. Effets constatés sur la fatigabilité, l'équilibre, la coordination, la motricité, la préhension, l'élocution, les fausses routes, l'incontinence urinaire, le nystagmus ou la vision et les sensations douloureuses.
L'équilibre : station debout pour les marchants, du tronc pour ceux en fauteuil. La motricité : par exemple, lors de séances de kiné, si les personnes ont un suivi régulier. La préhension : action de saisir, retenir, agripper des membres supérieurs (bras/main). Pourcentages calculés à partir des réponses des personnes concernées (qui ont répondu Amélioration / Dégradation / Ni l'un, ni l'autre).

Pour l'ensemble des aspects évalués, **un pourcentage important (42% -75% des patients ambulatoires et 23%-74% des patients non ambulatoires) ne ressent ni une amélioration, ni une dégradation de la maladie** (**Figure 3**).
La majorité des patients ont suivi le traitement pendant plus d'un an (n=68). **Après plus d'un an de traitement, les ressentis constatés comme "ni une amélioration, ni une dégradation" peuvent se traduire comme un ressenti d'une certaine stabilisation, de non-évolution de la maladie.**

Concernant l'incontinence urinaire, le pourcentage de patients ayant constaté une dégradation reste important, avec 33% de patients ambulatoires et 22% de non ambulatoires (**Figure 3**).

Bien que les réponses expriment le ressenti des patients à la date de notre enquête, les patients concernés, ambulatoires et non ambulatoires (voir **Tableau 4**), qui ont constaté une amélioration l'ont remarquée principalement au cours des 6 premiers mois de traitement (**Tableau 5**).

Tableau 5: Apparition de l'amélioration.

	L'amélioration est apparue à		
	0 - 6 mois	6 - 12 mois	> 1 an
Fatigabilité (n=29)	21 (72%)	7 (24%)	1 (3%)
Equilibre (n=28)	23 (82%)	4 (14%)	1 (4%)
Coordination (n=25)	17 (68%)	8 (32%)	0 (0%)
Motricité (n=26)	20 (77%)	6 (23%)	0 (0%)
Préhension (n=25)	19 (76%)	6 (24%)	0 (0%)
Elocution (n=50)	40 (80%)	9 (18%)	1 (2%)
Fausses routes (n=23)	20 (87%)	3 (13%)	0 (0%)
Incontinence urinaire (n=7)	3(43%)	4 (57%)	0 (0%)
Nystagmus ou vision (n=9)	6 (67%)	2 (22%)	1 (11%)
Sensations douloureuses (n=8)	4 (50%)	4 (50%)	0 (0%)

Nombre de patients (%)

Plus précisément, un nombre légèrement plus important de patients ont constaté une amélioration de la fatigabilité et l'équilibre (en station debout pour ceux qui peuvent encore marcher et du tronc pour ceux en fauteuil roulant) au cours des 3 premiers mois de traitement avec Skyclarys (**Tableau 6**).

Cependant, un nombre plus important de patients ont constaté l'apparition d'une amélioration de leur coordination, motricité, préhension, élocution et des fausses routes entre 3- 6 mois (**Tableau 6**).

Un petit nombre de patients concernés par une incontinence urinaire, de nystagmus, de troubles de la vision ou de sensations de douleur ont signalé une amélioration, principalement au cours des trois premiers mois de traitement (**Tableau 6**).

Tableau 6: Détail des réponses des patients concernant l'apparition d'une amélioration des différents aspects de la maladie.

		< 3 mois	3-6 mois	6-9 mois	9-12 mois	> 1 an	total n (%)
Fatigabilité	Ambulatoire	7	4	1	2		14 (48%)
	Non ambulatoire	5	5	3	1	1	15 (52%)
	TOTAL	**12**	**9**	**4**	**3**	**1**	**29**
Equilibre	Ambulatoire	5	7				12 (43%)
	Non ambulatoire	7	4	4		1	16 (57%)
	TOTAL	**12**	**11**	**4**	**0**	**1**	**28**
Coordination	Ambulatoire	3	6	1	1		11 (44%)
	Non ambulatoire	3	5	3	3		14 (56%)
	TOTAL	**6**	**11**	**4**	**4**	**0**	**25**
Motricité	Ambulatoire	4	7	1			12 (46%)
	Non ambulatoire	4	5	4	1		14 (54%)
	TOTAL	**8**	**12**	**5**	**1**	**0**	**26**
Préhension	Ambulatoire	3	4		1		8 (32%)
	Non ambulatoire	6	6	2	3		17 (68%)
	TOTAL	**9**	**10**	**2**	**4**	**0**	**25**
Elocution	Ambulatoire	4	9		2	1	16 (32%)
	Non ambulatoire	15	12	6	1		34 (68%)
	TOTAL	**19**	**21**	**6**	**3**	**1**	**50**
Fausses routes	Ambulatoire	5	6				11 (48%)
	Non ambulatoire	4	5	3			12 (52%)
	TOTAL	**9**	**11**	**3**	**0**	**0**	**23**
Incontinence urinaire	Ambulatoire				1		1 (14%)
	Non ambulatoire	3		3			6 (86%)
	TOTAL	**3**	**0**	**3**	**1**	**0**	**7**
Nystagmus ou la vision	Ambulatoire	2		1			3 (33%)
	Non ambulatoire	2	2	1		1	6 (67%)
	TOTAL	**4**	**2**	**2**	**0**	**1**	**9**
Sensations douloureuses	Ambulatoire	2		1			3 (38%)
	Non ambulatoire	2		1	2		5 (63%)
	TOTAL	**4**	**0**	**2**	**2**	**0**	**8**

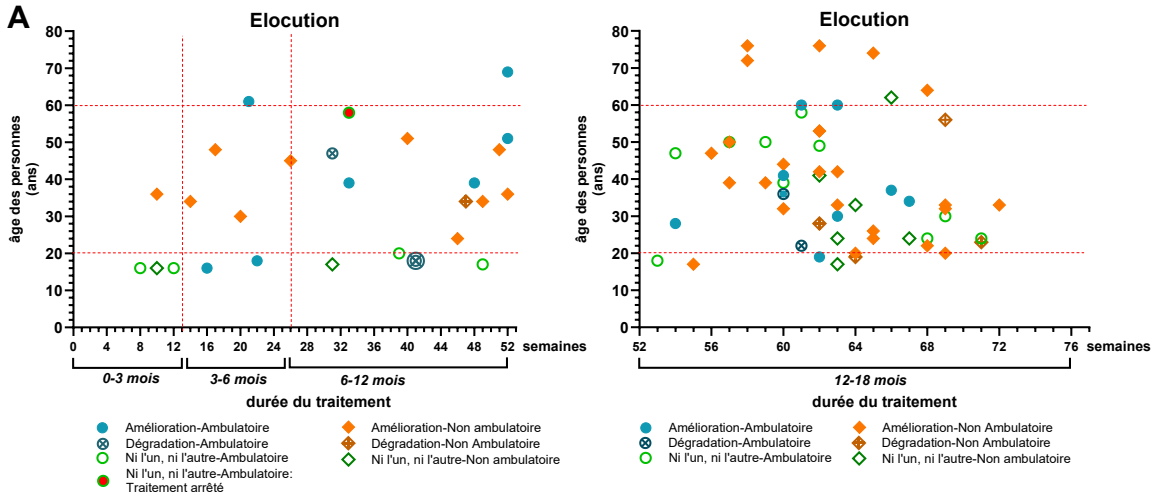
4.3 Ressentis de patients en fonction de la durée du traitement

Pour notre analyse, nous avons considéré de 0 à 52 semaines comme moins de 1 an de traitement, et de 53 à 73 semaines comme plus de 1 an de traitement.

Les **Figures 4-10** montrent la distribution de réponses sur les aspects constatés comme améliorés, dégradés, ou ni améliorés ni dégradés. Les aspects perçus "ni améliorés ni dégradés" (« ni l'un ni l'autre » dans notre questionnaire) après 1 an de traitement, peuvent être qualifiés de "stables".

4.3.1 Elocution

L'amélioration de l'élocution a été constatée avant et après un an de traitement par un pourcentage important de patients ambulatoires et non ambulatoires, mais elle a été ressentie par un pourcentage plus élevé de patients non ambulatoires (**Figure 4**).



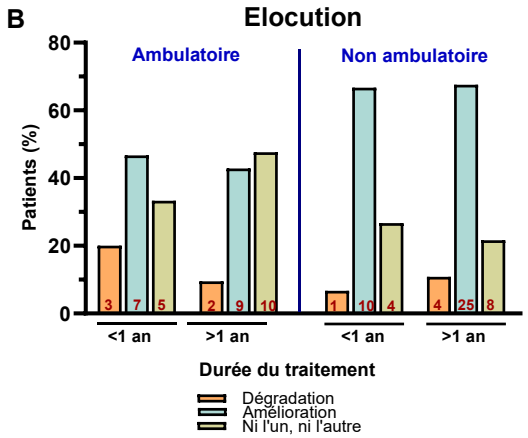
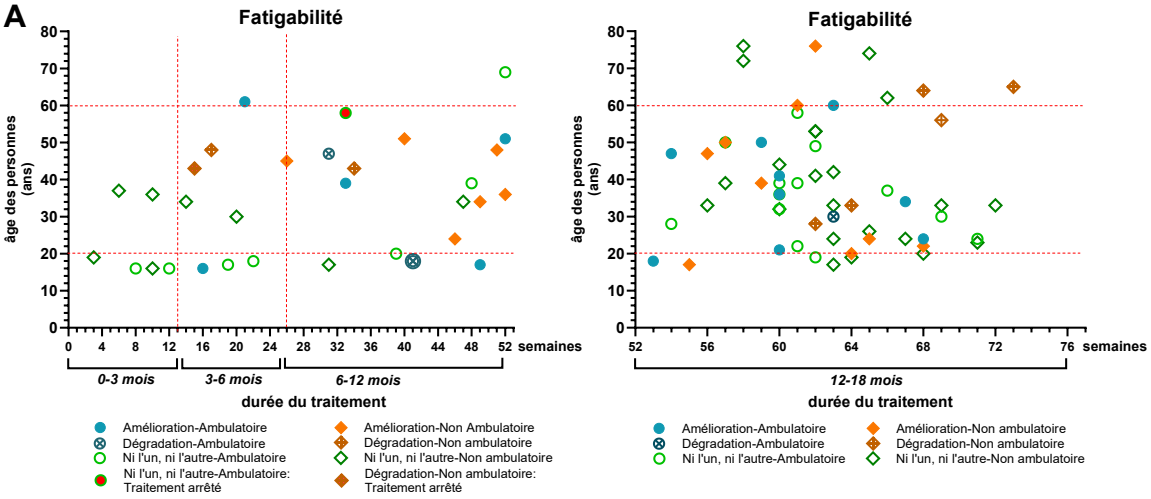


Figure 4. Élocution

A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*
B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

4.3.2 Fatigabilité

Des patients ambulatoires et non ambulatoires ont exprimé ressentir une amélioration de la fatigabilité avant et après un an de traitement. Après un an de traitement, la perception de la fatigabilité comme stable (ni améliorée, ni dégradée) est augmentée (**Figure 5**).



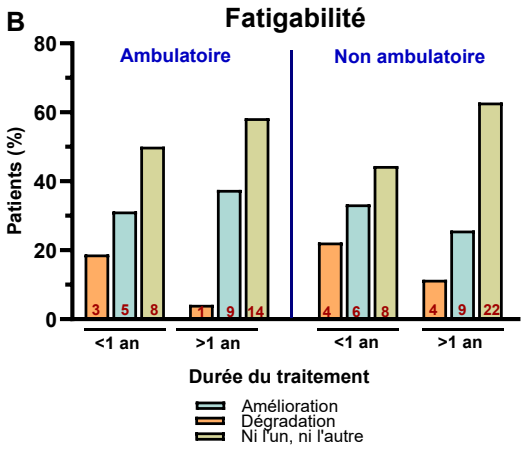


Figure 5. Fatigabilité

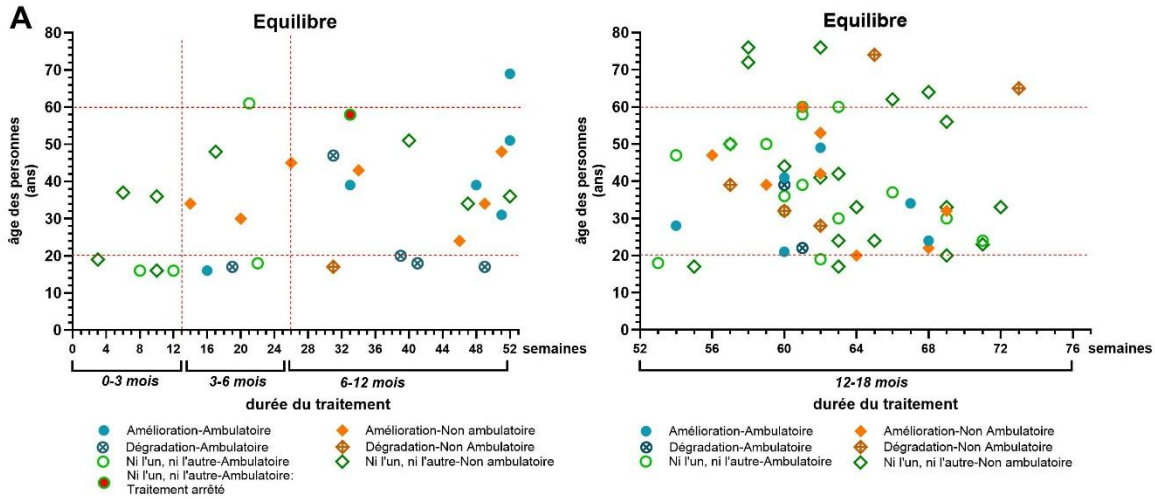
A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*
B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

Plan moteur : Equilibre, Coordination, Motricité, Préhension

Comme comptabilisé dans les résultats issus de notre précédente enquête, nous constatons que les personnes qui peuvent marcher avec ou sans aide et celles en fauteuil roulant (n=5-7), ressentent une amélioration de l'équilibre (**Figure 6**), la coordination (**Figure 7**) et la motricité (**Figure 8**), mais aussi la préhension (**Figure 9**), avant 1 an de traitement. L'amélioration est encore perçue après 1 an sur l'ensemble des aspects moteurs.

Dans l'ensemble, après un an de traitement, la notion de stabilité (absence d'amélioration ou de dégradation de la maladie) apparaît plus mentionnée chez les patients ambulatoires et non ambulatoires.

4.3.3 Equilibre



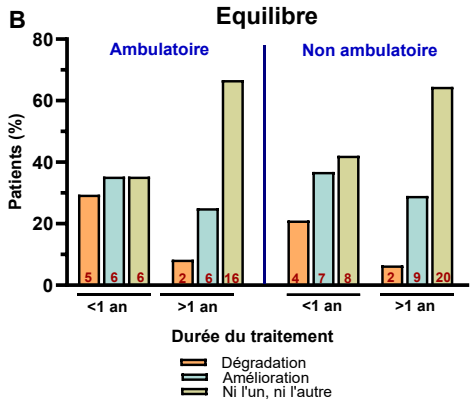
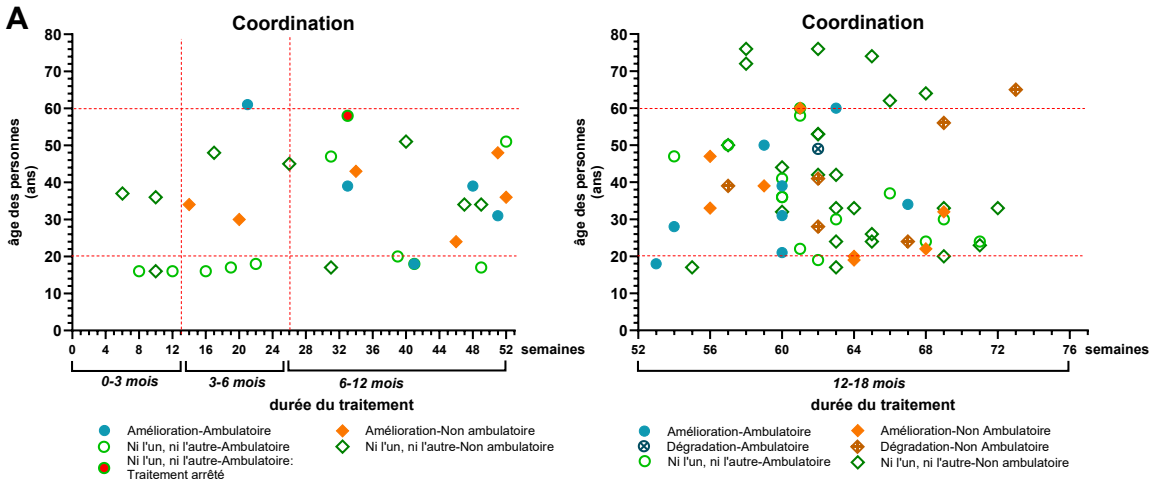


Figure 6. Équilibre (station debout pour les marchants, du tronc pour ceux en fauteuil)

A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*
B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

4.3.4 Coordination



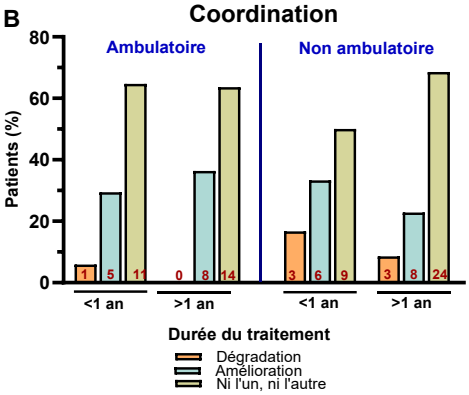
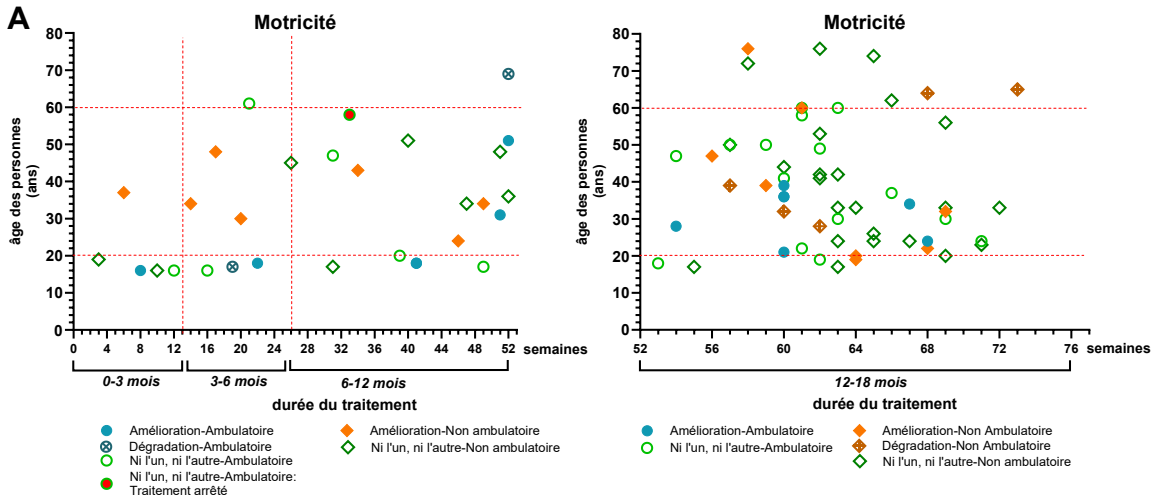


Figure 7. Coordination

A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*
B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

4.3.5 Motricité



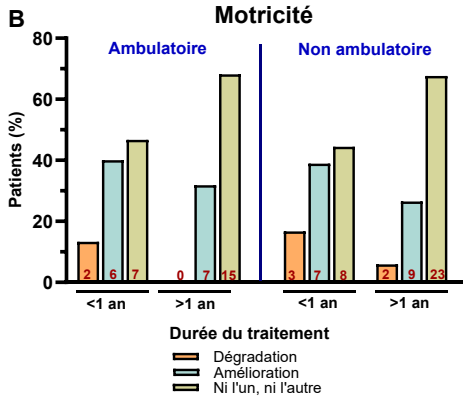
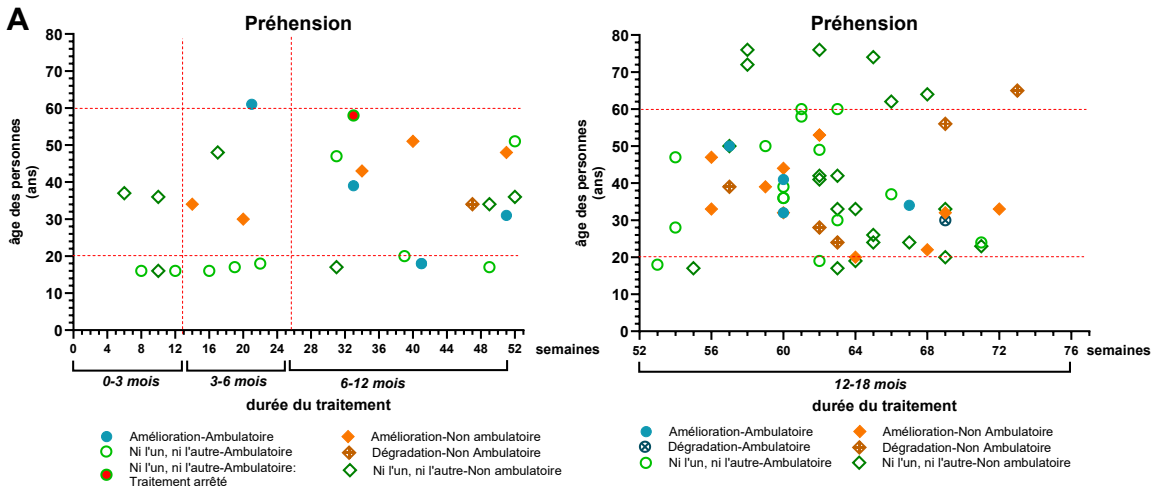


Figure 8. Motricité

A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*
B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

4.3.6 Préhension



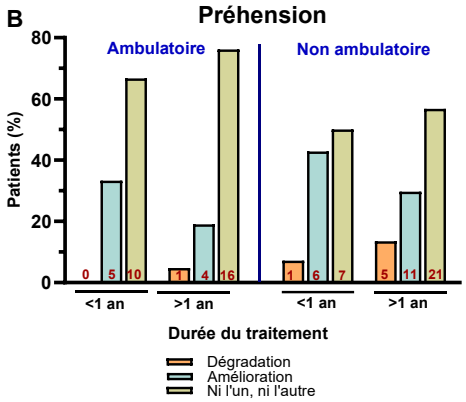


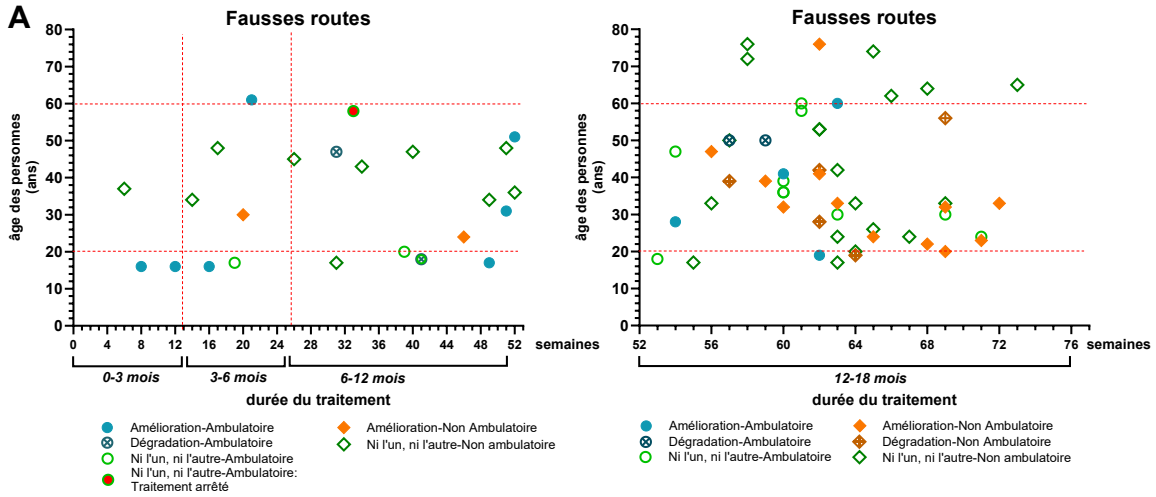
Figure 9. Préhension

A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*
B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

Autres aspects

4.3.7 Fausses routes

Parmi les patients ambulatoires comme non ambulatoires, 29 et 49 personnes respectivement se sentent concernées par les fausses routes (**Figure 10**).
Dans notre questionnaire précédent, certaines des personnes dont l'élocution s'était améliorée ont également signalé avoir moins de fausses routes. Dans cette enquête, une amélioration des fausses routes a également été signalée par des patients dont l'élocution s'est vue améliorée : parmi les 7 patients ambulatoires avec < 1 an de traitement qui ont déclaré une amélioration des fausses routes, 3 ont aussi signalé une amélioration de l'élocution, et également les 4 patients de > 1 an de traitement. Dans le cas des patients en fauteuil roulant, 2 patients avec < de 1 an de traitement et 10 patients avec > 1 an de traitement qui ont déclaré une amélioration des fausses routes ont également signalé une amélioration de l'élocution.



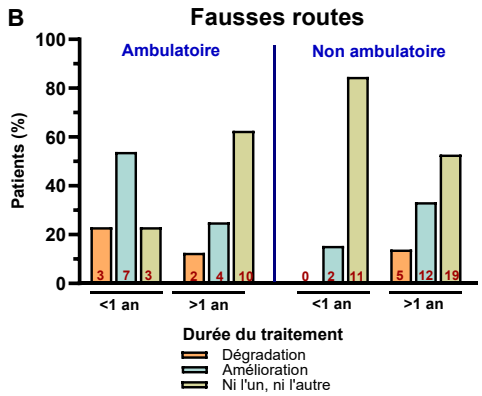


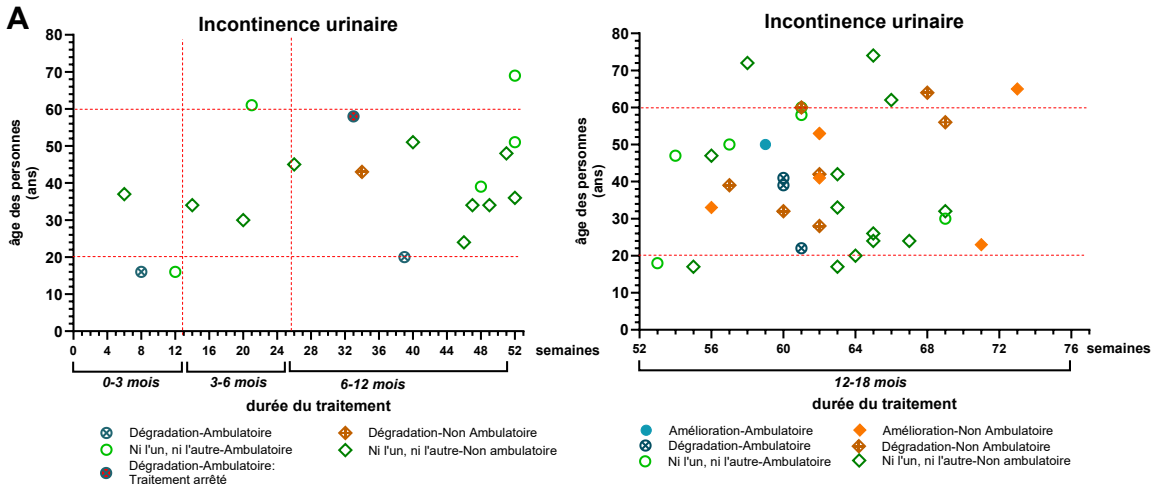
Figure 10. Fausses routes

A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*

B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

4.3.8 Incontinence urinaire

Concernant l'incontinence urinaire, 18 patients ambulatoires et 37 non ambulatoires présentent une incontinence urinaire. L'incontinence urinaire semble stable (absence d'amélioration ou de dégradation) pour plus de patients qu'ils soient ambulatoires et non ayant reçu le traitement pendant < 1 an et > 1 an. Son amélioration apparaît mentionnée chez quelques patients ambulatoires et non ambulatoires après 1 an de traitement (**Figure 11**).



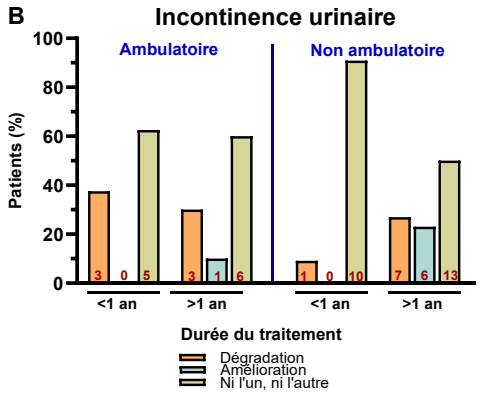


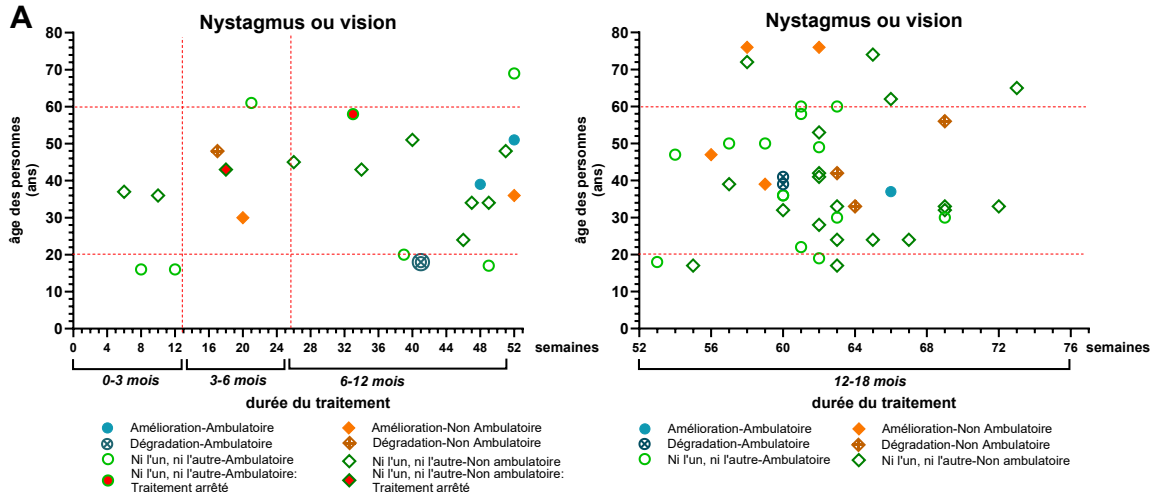
Figure 11. Incontinence urinaire

A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*

B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

4.3.9 Nystagmus ou troubles de la vision

Le nystagmus ou les troubles de la vision ont été déclarés par 28 patients ambulatoires et 39 non ambulatoires. La plupart d'entre eux n'ont constaté ni amélioration ni dégradation (**Figure 12**).



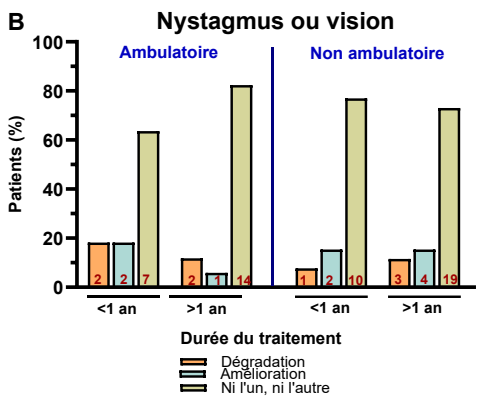
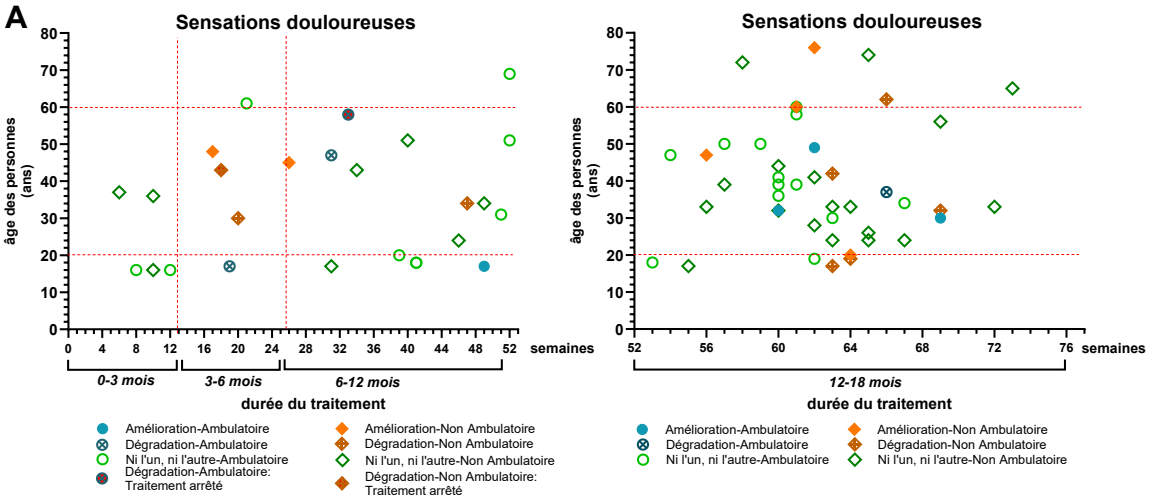


Figure 12. Nystagmus ou troubles de la vision
A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*
B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

4.3.10 Sensations douloureuses

Les sensations douloureuses ont été rapportées par 30 patients ambulatoires et 40 non ambulatoires. La plupart d'entre eux n'ont constaté ni une amélioration ni une dégradation (**Figure 13**).



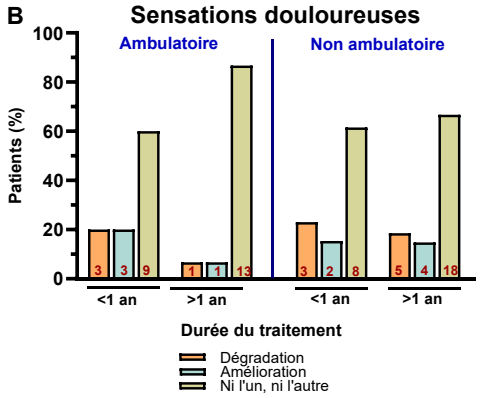


Figure 13. Sensations douloureuses
A : Nombre de patients qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Chaque symbole représente 1 patient. Dans le cadre de l'accès précoce, les visites chez le neurologue se font à 3 mois, 6 mois (lignes pointillées rouges) 12 et 18 mois de traitement.*
B : Pourcentage de patients ambulatoires et non ambulatoires qui constatent une amélioration, une dégradation ou ni l'un, ni l'autre, après le traitement avec Skyclarys. *Réponses normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.*

Le **Tableau 7** montre les verbatims exprimés concernant les ressentis remarqués depuis la prise du Skyclarys. Les thèmes sur les aspects de la maladie sont montrés en vert (fatigabilité), rouge (élocution), bleu (aspects moteurs), violet (autres aspects), rouge foncé (qualité de vie).

Tableau 7: Verbatims de personnes ambulatoires et non ambulatoires sur leur ressenti à moins ou plus d'un an de traitement avec Skyclarys.

Ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
J'ai moins de fatigue en fin de journée	Meilleure appréhension des chutes : lorsque j'ai des pertes d'équilibre, j'arrive à bien me restabiliser
Je tiens mon verre sans bouger ou trembler, je tiens longtemps debout sans appui, je vise mieux quand je lance quelque chose, j'attrape rapidement les objets sans chercher longtemps, je marche plus droite	Depuis la prise du médicament, ça a changé la qualité de vie au niveau, tout d'abord de la fatigabilité (je me reposais souvent au cours de la journée et lors de mes déplacements, chaque mouvement était fatiguant) je pense être quelqu'un de plus fatigué qu'une personne lambda mais beaucoup moins qu'avant le médicament. Les proches, autour de moi ont noté une meilleure élocution, une prise de parole plus importante à des discussions…
Je fais moins tomber les objets	Une personne qui ne m'avait pas vu depuis 6 mois (avant Skyclarys) a dit qu'elle trouvait que je parlais très bien, voire mieux qu'avant
Je fais moins tomber les objets, j'ai moins de problème pour servir de l'eau	La fatigue apparaît plus tard dans la journée qu'avant le traitement
La marche	Moins de fatigue provoquant une amélioration de ma vie sociale (sorties avec amis)
Mon équilibre debout en statique facilite la douche et l'habillage	Je peux marcher seule de plus longues distances
Rapidité dans les mouvements	J'ai plus d'assurance dans les déplacements
Aucun ressenti positif	Je me relève plus facilement de mes chutes
J'ai perdu du poids, plus de fatigue (dégradation)	La conduite automobile, les déplacements en déambulateur sont plus faciles
Pendant la prise, plus de douleur d'arthrose au niveau des genoux. Plus d'eau dans les genoux. (Arrêt du traitement à 33 semaines).	Je ne ressens pas personnellement des effets positifs mais mon entourage constate qu'il y a quand même une évolution dans tout ce qui est coordination et écriture.
	Amélioration de la marche en ligne et éviter des chutes
	Je préfère ne pas trop chercher d'amélioration et laisse mon entourage me le signaler
	Pas vraiment de positif
	Rien, j'ai même l'impression que ça se dégrade encore plus vite
	Aucune modification notable
	Aucun ressenti négatif mais ni positif

Non ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Je ressens beaucoup moins la fatigue, moins de problème de focale de la vision, j'ai une meilleure élocution et parfois j'ai l'impression d'avoir moins de problèmes de motricité fine. Pour la première fois de ma vie, la neurologue n'a pas noté d'évolution de la pathologie	Meilleur tonus, plus de force musculaire, élasticité des jambes, amélioration de mon diabète, meilleure élocution, meilleur moral
J'ai plus d'énergie pour réaliser des tâches quotidiennes, c'est plus facile d'avoir des conversations, j'arrive mieux à aider les aidants	Moins de fausses routes et de toux
J'ai beaucoup moins de fatigabilité, on me dit que je parle mieux et que je suis plus présente. Pas d'évolution de l'audition depuis 1 an. J'ai gagné 3 points sur l'échelle SARA en 1 an. Je ne trouve pas d'amélioration pour la vessie.	Plus de facilité à tenir assise sans aide, à parler et à tenir des objets
Au niveau de mes membres supérieurs, ma motricité s'est améliorée (ex. Mes gestes sont moins hésitants pour prendre des verres remplis de liquide). Je suis passée de 5 fausses routes par mois à deux. J'ai l'impression de moins saliver facilement quand je parle. Mes mouvements sont plus nets et francs, beaucoup moins hésitants.	Bien meilleure communication verbale : Je parle plus vite, les personnes me comprennent beaucoup mieux. C'est extrêmement important pour moi car je dois dicter lorsque je passe mes examens à un secrétaire. De plus, mes amis n'hésitent pas à m'appeler au téléphone par exemple. J'ai beaucoup moins de fausses routes. J'ai une stabilisation de mon état physique.
Plus de fatigue, Exemple : je peux veiller très tard et je me couche tard maintenant.	Le seul petit mieux est dans la façon de parler
Moins fatiguée la journée, Moins de douleurs la nuit, J'écris mieux, c'est plus précis, Exercices de marche et d'équilibre assis mieux réussis, J'ai retrouvé de la force pour ouvrir les opercules (pince entre le pouce et l'index)	Élocution moins saccadée constatée par orthophoniste, possibilité de tenir debout sans appui vérifiée par le kiné
La station debout est moins pénible. Meilleure coordination des mains. Meilleur équilibre assise ou debout.	Meilleure élocution, point positif pour moi car la dégradation de mon élocution a été le premier symptôme de la maladie.
Plus de facilité à articuler	Mes doigts se détendent plus facilement, j'ai une meilleure élocution, mon corps est plus tonique
Plus de tremblements (amélioration), Station debout plus stable, Amélioration de l'élocution	Juste beaucoup moins fatigué et meilleure élocution
Dans les jambes, moins de raideur au réveil, et lors des transferts avec l'infirmière ; moins de spasticité lors de mes séances de MOTOmed* (*Entraineur Thérapeutique de mouvement motorisé)	Je fais beaucoup moins de fausses routes. Avant, je faisais au moins une fois tous les jours, maintenant c'est plus une par semaine. Mon élocution est beaucoup plus compréhensible, même si je ne me rends pas compte. Mes collègues me l'ont signalé.
Pas de changement	Le traitement a un effet de boost dans le cadre d'un bon suivi médical.
Aucun changement	Je sens beaucoup plus d'énergie et de force physique et morale.

Trop tôt pour le dire	Moins de fatigue très vite, plus de motivation notamment pour tenir une activité gym quotidienne d'où amélioration musculaire, transferts et relevés plus faciles, plus de souplesse générale, moins de douleurs cou et dos, meilleure posture. On dirait légère meilleure présentation et vue (fixer un objet lointain), moins de toux et fausse route, meilleure diction si pas fatiguée, Meilleure audition en milieu bruyant
Trop tôt	Meilleure sociabilisation (amis, famille) grâce à une meilleure communication et à moins de fatigue. Plus de présence active en communauté
Pendant la prise aucun. (Arrêt du traitement à 15 semaines)	Un peu plus de coordination dans les membres supérieurs
	Meilleure qualité de transfert, globalement stable
	Je saisis les choses plus facilement. Je suis moins fatiguée. Mon élocution est meilleure si je suis reposée.
	Amélioration de l'élocution plus fluide
	Juste beaucoup moins fatigué et meilleure élocution
	Élocution
	La parole
	Je retiens mieux mes urines
	Mon état est plutôt stable
	Pour les dégradations (ex. incontinence), l'accélération n'est pas due au médicament mais plutôt à l'évolution prévue de la maladie et le Skyclarys n'agit pas (ou moins) sur ces facteurs. Concernant les améliorations, ce sont surtout mes proches qui les ont remarquées. L'amélioration des membres supérieurs au niveau de la préhension et de la mobilité peut être due à l'utilisation régulière du fauteuil manuel (depuis 6-9mois) qui développe ma musculature du haut du corps et m'offre plus de maîtrise.
	Pas grand-chose…
	Remontée gastrique, brûlures œsophage, prise de alginate/bicarbonate
	Pas de ressenti positif
	Rien
	Aucun
	Aucun
	Rien
	Élocution énergie 0

Les thèmes qui ressortent le plus chez les personnes ambulatoires sont principalement l'aspect moteur (équilibre, coordination), ensuite l'élocution et la fatigabilité.
Chez les personnes en fauteuil roulant, les thèmes qui ressortent le plus sont surtout l'amélioration de l'élocution, la fatigabilité et les aspects moteurs.

4.4 Effets négatifs ressentis par les patients sous Skyclarys

Nous avons interrogé les répondants pour savoir quels sont les ressentis négatifs qu'ils ont remarqués depuis la prise du traitement. Les effets secondaires ont été principalement signalés au cours des trois premiers mois de traitement (**Figure 14**). Le **Tableau 8** montre les verbatims exprimés concernant les effets négatifs.

Douze (12) patients ont constaté une modification des analyses biologiques nécessitant un arrêt ou une modification de la posologie.

Parmi les 8 patients ayant subi une hospitalisation non programmée depuis la prise de Skyclarys, 2 ont été hospitalisés pour des problèmes digestifs et 1 pour des problèmes cardiaques.

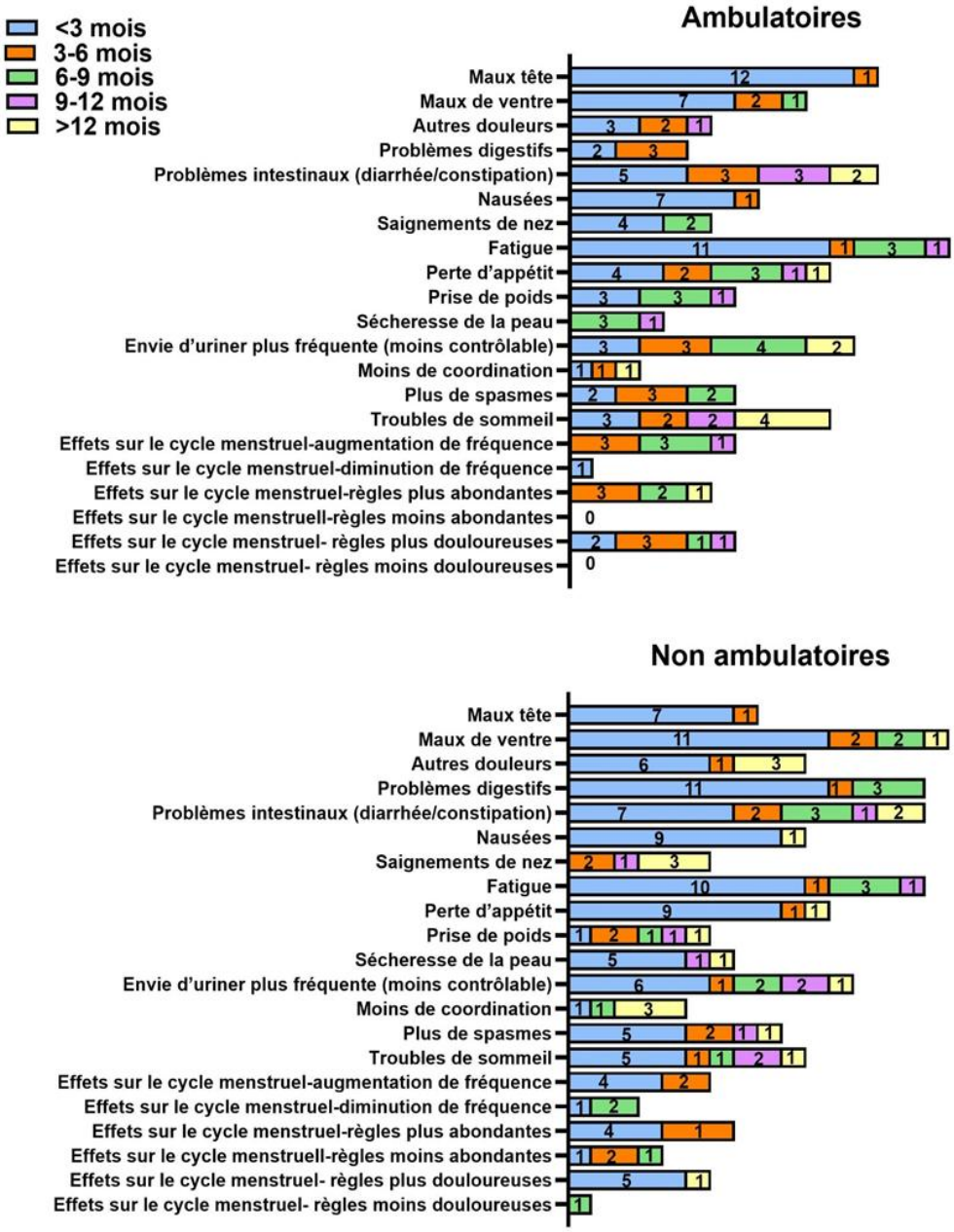


Figure 14. Effets négatifs.

Nombre de patients ambulatoires et non ambulatoires qui ont ressenti des effets négatifs. Le nombre de patients est indiqué à l'intérieur de chaque barre. La durée du traitement au bout de laquelle des effets négatifs apparaissent, est indiquée par un code couleur.

Tableau 8: Verbatims exprimés concernant les ressentis négatifs.
Chaque ligne représente les ressentis d'une personne

Ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Coliques	Augmentation du cholestérol
	Vertige occasionnel
	Les hématomes lors de mes chutes quand je me cogne sont importants. J'ai l'impression de transpirer beaucoup plus, et comme que mon odeur corporelle est plus forte.
	Grosse fatigue les 3 premiers mois (après 3 mois amélioration)
	Altération du goût, crampes, crises de goutte, hypokaliémie.
	Des crampes au tibia très douloureuses
	Infection urinaire +++. Douleurs vessie ++

Non ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Goût métallique dans la bouche en permanence	Goût de fer dans la bouche, remontées acides
Grande fatigabilité et douleurs au ventre les 2 premières semaines. Modification du goût, aliments plus amers, sans goût. Je ne peux plus manger certains aliments.	Des palpitations cardiaques apparues entre le 9ème mois et 1 an. Des sueurs nocturnes et des spasmes dans les jambes qui font croiser mes jambes à partir du 12ème mois.
Depuis la prise du médicament, mes douleurs au niveau des bras et des épaules, se sont énormément intensifiées. Je ne peux toutefois pas être sûre à 100 % que c'est lié au médicament, étant donné que j'ai déjà eu des tendinites sur cette partie du corps, mais elles n'avaient quand même jamais été aussi intenses et pendant aussi longtemps.	Douleurs lombaires et musculaires qui ne passent pas
Infections urinaires, Bronchites avec complications respiratoires, beaucoup de problèmes intestinaux	Règles /15 jours bien que stérilet hormonal. Boutons au visage ou plaques permanentes. Crampes aux mains, semblent se calmer, à voir. Bonne cicatrisation on dirait et + de bleus... Beaucoup de pics nerveux avec spasticité pendant plusieurs mois, semble se calmer.
Je vais beaucoup aux toilettes pour les selles, trois ou quatre fois par jour. J'ai souvent mal au ventre et des diarrhées. Je suis sous Optimizette en continu et j'ai de temps en temps des petits saignements.	En plus des relents acides (qualifiés en problèmes digestifs) des vertiges sont apparus. Ces 2 symptômes ont duré 2 semaines avant de disparaître complètement. Je signale l'incontinence urinaire mais cela n'est pas nécessairement en lien avec le médicament car je suis incontinent (avec évolution) depuis plus longtemps que le début de la prise du Skyclarys.
À part la fatigue du premier mois et de la reprise après une pause d'un mois, je n'ai rien noté. Peut-être le fait d'avoir pris quelques kilos et encore une fois je n'en suis pas certaine.	J'ai malheureusement eu une période de mauvais suivi infirmier pendant 6 mois, au cours de cette période la maladie a pris le dessus. Depuis, je reviens petit à petit en arrière et je récupère aussi ma voix.
	Plus de moments "dépressifs".

	Mes doigts se rétractent plus mais j'ai changé mes habitudes.
	Les effets secondaires continuent. Autres effets : perte de poids.
	Problème d'élocution plus important que par le passé. Plus de fatigue également Concentration plus courte qu'avant. Temps de réaction beaucoup plus long qu'avant.
	Narcolepsie (associée à l'apnée du sommeil, déjà présente).
	Sécheresse des lèvres et tout petits boutons sur une joue depuis la prise du traitement.
	La prise du traitement à jeun est parfois compliquée. Le fait d'avoir des devoirs le matin entraîne des petits étourdissements qui disparaissent après avoir mangé.
	Augmentation de mon taux de NT-proBMP qui a nécessité un bilan cardiaque.

4.5 Prise des médicaments et autres traitements

Nous avons voulu savoir quels autres médicaments ou traitements prennent les 119 personnes actuellement sous traitement de Skyclarys ou qui ont dû l'arrêter définitivement. Les répondants ont eu la possibilité de s'exprimer librement (**Tableau 9**).

Parmi les 119 patients (50 ambulatoires, 67 en FR et 2 qui n'ont pas précisé leur état ambulatoire), 28 (23,53%) n'ont pas fourni de réponse et 11 (9,24%) ne prennent aucun médicament ou traitement. Parmi les 117 patients ambulatoires et non ambulatoires, 29 (24,37%) reçoivent de l'idébénone et 25 (21,37%) des traitements pour l'hypertension artérielle ou l'insuffisance cardiaque (**Tableau 9**).

Tableau 9: Nombre de patients qui prennent également d'autres médicaments.

Indication	Réponses - Nom du médicament	Ambulatoire (n=50 pts)	Non ambulatoire (n=67 pts)	NR (n=2)	TOTAL (n)	TOTAL (%)
pas de réponse*	Vide	17	10	1	**28**	**23,53**
aucun médicament*	Aucun médicament, rien	7	3	1	**11**	**9,24**
antioxydant	Idébénone (Amizal, Mnesis)	8	21		**29**	**24,37**
hypertension artérielle/ insuffisance cardiaque	Ramipril, Lorsatan, Amlodipine + Telmisartan (Twynsta),Corgard, Atenolol, Irbésartan, Périndopril , Dapagliflozine (Forxiga), Bisoprolol (Bisoprolol, Cardensiel, Cardiocor), Ivabradine (Procoralan)	7	18		**25**	**21,37**
antidépresseur/anxiolytique*	Fluoxetine, Effexor, Mianserine, Escitalopram, Venlafaxine, Sertraline, Norset, Laroxyl, Paroxetine, Clonazépam	2	14	1	17	14,29

diabète/insuline*	Humalog, insuline Abasaglar, Insuline Asparte, Tresiba, Metformine (Metformine, Janumet*) * metformine+sitagliptine, Sitagliptine (Sitagliptine, Januvia), Insuline, Repaglinide	0	15	1	16	13,45
spasticité	Baclofen (Baclofene, Lioresal)	5	10		15	12,82
acidité de l'estomac	Omeprazol (Oméprazole), Esomeprazol (Esoméprazole Almus, Inexium), Lansoprazole, Inipomp	1	10		11	9,40
incontinence urinaire/ alphabloquant-troubles urinaires	Fesoterodine (Toviaz), Trosipharm (Ceris), Oxybutynine (Ditropan), Solifénacine (Vesicare), Alfuzosine	0	7		7	5,98
vitamines - Fer	Vitamine D, B12, E, Toco	4	2		6	5,13
antihistaminique/allergie	Zyrtec, Cetirizine, Bilastine, Desloratadine	2	3		5	4,27
hypolipidémiant (cholestérol)	Fénofibrate (Lipanthyl), Ezétimibe (Ezetimibe, Ezetrol), Atorvastatine	2	3		5	4,27
douleurs neuropathiques	Prégabaline (Prégabalin, Lyrica)	1	3		4	3,42
acide folinique/acide folique	Lederfoline, Acide folique (Speciafoldine)	0	3		3	2,56
hypothyroïdie	Lévothyroxine (Levothyrox)	1	2		3	2,56
bronchodilatateur	Innovair	0	2		2	1,71
carence en carnitine	Levocarnyl	1	1		2	1,71
contraceptif	Nomégestrol (Lutenyl), Drospirénone (Slinda)	0	2		2	1,71
déficits coenzyme Q10	Ubidécarénone (Décorenone)	0	2		2	1,71
migraine	Triptan (Eletriptan, Zolmitriptan)	1	1		2	1,71
myoclonie (contractions musculaires)	Oxitriptan (Levotonine)	0	2		2	1,71
reflux gastro-œsophagien	Mopral	0	2		2	1,71
insomnie*	Mélatonine	0	1	1	2	1,68
acide urique	Allopurinol (Zyloric)	1	0		1	0,85
antalgique	Aspirine (Aspegic)	0	1		1	0,85
anticoagulant	Apixaban (Eliquis)	0	1		1	0,85
anti-inflammatoire	Diclofénac (voltarene)	0	1		1	0,85
antirhumatismal	Méthotrexate (Metoject)	0	1		1	0,85
circulation sanguine	Ginkgo biloba (Tanakan)	1	0		1	0,85
dysfonction érectile	Tadalafil	0	1		1	0,85

essai clinique MOVE-FA (PTC)	Vatiquinone	1	0		1	0,85
hypokaliémie	DiffuK	1	0		1	0,85
hypotension orthostatique	Chlorhydrate de midodrine (Gutron)	0	1		1	0,85
immunosuppresseur -inflammation	Adalimumab (Humira)	1	0		1	0,85
surcharge en fer - thalassémie	Ferriprox	0	1		1	0,85

NR : Non Renseigné ; pts : patients
** % calculé sur un total de 119 répondants. Pour toutes les autres catégories, le % a été calculé sur 117 répondants, dont 50 patients ambulatoires plus 67 patients non ambulatoires.*

4.6 Perception de l'évolution de la maladie

Nous avons posé la question suivante aux patients : « Avez-vous la perception que votre maladie s'est dégradée, améliorée ou stabilisée ? »

Les répondants ont eu la possibilité de choisir plusieurs options de réponse pour s'exprimer sur leur perception de la maladie : Un peu dégradée, Dégradée, Un peu améliorée, Améliorée, Un peu stabilisée ou Stabilisée.

Nous avons quantifié ensemble les réponses suivantes (**Tableau 10**) :
- Un peu dégradée et Dégradée
- Un peu améliorée et Améliorée
- Un peu stabilisée et Stabilisée

Tableau 10: Perception de la maladie.
Distribution de réponses de patients concernés et non concernés.

Perception de la maladie					
Nombre de patients qui ont répondu (n=93)			**Un peu dégradée + Dégradée**	**Un peu améliorée + Améliorée**	**Un peu stabilisée + Stabilisée**
Ambulatoire (n=39)	< 1 an (n=17)	Patients concernés	9	6	7
		Patients non concernés	8	11	10
	> 1 an (n=22)	Patients concernés	12	3	12
		Patients non concernés	10	19	10
Non ambulatoire (n=54)	< 1 an (n=16)	Patients concernés	5	7	7
		Patients non concernés	11	9	9
	> 1 an (n=38)	Patients concernés	19	16	22
		Patients non concernés	19	22	16

Les personnes AF qui marchent avec ou sans aide ont principalement eu la perception que la maladie s'est dégradée pendant la première année de traitement. Cependant, après 1 an de traitement, la maladie est aussi perçue comme stable par un même nombre de patients.
Pour les patients en fauteuil roulant, l'amélioration et la stabilisation de la maladie ont été évoquées au cours de la première année de traitement. Le pourcentage de stabilisation est maintenu après 1 an de traitement (**Figure 15**).

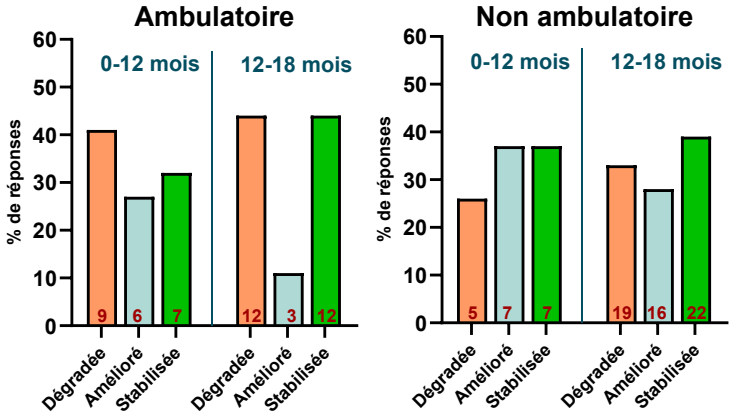


Figure 15. Perception de la dégradation, amélioration ou stabilisation de la maladie.
Pourcentage de réponses de patients ambulatoires (n=39) et non ambulatoires (n=54). Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.

4.7 Stabilisation de la maladie

Parmi les personnes qui ont répondu à ce questionnaire, 68 adhérents ont aussi répondu au questionnaire réalisé par l'AFAF en octobre 2024 (**Figure 2**).
Afin d'évaluer une possible stabilisation de la maladie avec le temps, nous avons comparé les réponses fournies par les participants ayant répondu à chaque questionnaire.

Pour cela, nous avons d'abord identifié les patients qui ont constaté des effets exprimés dans les deux questionnaires, grâce à leur âge, âge de premiers symptômes, sexe, type de mobilité, si leur mobilité avait changé entre la date de réponse au questionnaire 2024 et la date de réponse au questionnaire 2025, et date de début du traitement.
Un total de 24 adhérents AF, dont 9 ambulatoires et 15 non ambulatoires ont été identifiés (**Tableau 11**). Dans l'enquête d'octobre 2024, tous les patients n'ont pas fourni une réponse soit parce qu'ils ne se sentaient pas concernés par certains aspects de la maladie (NC), soit parce qu'ils pensaient que c'était trop tôt et qu'ils n'avaient encore rien ressenti après avoir pris du Skyclarys (TT).

Tableau 11: Caractéristiques des adhérents qui ont répondu sur certains effets de la maladie dans les deux enquêtes réalisées par AFAF 2024 et 2025.

Patient (âge en 2025/ âge 1ers symptômes)	Déplacement en 2024 & 2025	Durée du traitement (sem) Enquête 2024	Durée du traitement (sem) Enquête 2025
F (24/15)	Amb	38	68*
F (39/29)	Amb	30	61
F (58/45)	Amb	29	61
F (21/17)	Amb	27	60
M (69/45)	Amb	20	52
F (39/25)	Amb	16	48
F (39/23)	*Amb*	*28 (NC)*	*60*
F (18/13)	*Amb*	*8 (TT)*	*41*
M (20/10)	*Amb*	*9 (TT)*	*39*
M (64/33)	Non Amb	34	68*
F (21/10)	Non Amb	35	68*
M (26/7)	Non Amb	34	65*
M (74/48)	Non Amb	28	65*
F (42/16)	Non Amb	31	62
F (53/10)	Non Amb	31	62
M (76/37)	Non Amb	26	62
F (60/15)	Non Amb	30	61
F (44/20)	Non Amb	29	60
M (42/25)	Non Amb	28	60
F (39/4)	Non Amb	26	59
F (72/39)	Non Amb	27	58
M (17/3)	Non Amb	20	55
F (47/12)	*Non Amb*	*23 (TT)*	*56*
M (17/9)	*Non Amb*	*2 (TT)*	*31*

** indique plus de 1 an de traitement ; âge exprimé en années ; sem : semaines ; F : féminin ; M : masculin ; Amb : ambulatoire ; Non Amb : Non ambulatoire. En rouge, ceux qui n'étaient pas concernés par certains aspects de la maladie (NC) et ceux pour qui c'était trop tôt pour que le Skyclarys ait un effet (TT).*

Lors de l'enquête AFAF de 2024, les adhérents devaient indiquer s'ils avaient constaté une amélioration ou une dégradation de certains aspects de la maladie. Dans l'enquête 2025, les patients ont eu le choix de répondre : amélioration, dégradation ou ni l'un ni l'autre. Le passage de la perception d'un patient vers un état « ni amélioration ni dégradation » pourrait traduire un effet de stabilisation. Les **Tableaux 11 - 13** montrent les réponses des patients ambulatoires et non ambulatoires concernant leur perception de l'effet de Skyclarys sur l'élocution, la fatigabilité, l'équilibre, la motricité et la coordination.

La plupart des patients qui ont constaté une amélioration de leur élocution en 2024 continuent d'affirmer qu'ils ressentent cette amélioration. Un seul d'entre eux n'a signalé ni amélioration ni détérioration, ce qui pourrait indiquer que l'amélioration initiale se maintient (**Tableau 12)**.

Tableau 12: Perception de la stabilisation de l'élocution en fonction des réponses des adhérents AFAF aux questionnaires AFAF de 2024 et 2025.

Elocution

	Patient (âge en 2025/ âge 1ers symptômes)	Enquête 2024		Enquête 2025	
		Durée du traitement (sem)	Réponse	Durée du traitement (sem)	Réponse
Amb.	F (58/45)	29	A	61	ni A /ni D
	M (69/45)	20	A	52	A
	F (39/25)	16	A	48	A
Non Amb.	F (21/10)	35	A	68*	A
	M (64/33)	34	A	68*	A
	M (26/7)	34	A	65*	A
	M (74/48)	28	A	65*	A
	F (42/16)	31	A	62	A
	F (53/10)	31	A	62	A
	F (44/20)	29	A	60	A
	M (76/37)	26	A	62	A
	F (39/4)	26	A	59	A
	F (72/39)	27	A	58	A
	M (17/3)	20	A	55	A

** indique plus de 1 an de traitement ; âge exprimé en années ; sem : semaines ; F : féminin ; M : masculin ; Amb : ambulatoire ; Non Amb : Non ambulatoire ; A : amélioration ; D : dégradation ; ni A/ni D : ni amélioration ni dégradation.*

Concernant la fatigabilité, 4 patients ont constaté une amélioration de leur fatigabilité en 2024, et continuent d'affirmer qu'ils ressentent cette amélioration, 2 patients qui la percevaient comme dégradée ont indiqué qu'elle s'était améliorée. Deux autres ont déclaré qu'elle n'avait pas changé et une personne continue à la ressentir dégradée (**Tableau 13**).

Tableau 13: Perception de la stabilisation de la fatigabilité en fonction des réponses des adhérents AFAF aux questionnaires AFAF de 2024 et 2025.

Fatigabilité

	Patient (âge en 2025/ âge 1ers symptômes)	Enquête 2024		Enquête 2025	
		Durée du traitement (sem)	Réponse	Durée du traitement (sem)	Réponse
Amb.	F (24/15)	38	A	68*	A
Non Amb.	M (26/7)	34	A	65*	ni A/ ni D
	M (64/33)	34	D	68*	D
	F (60/15)	30	D	61	A
	M (42/25)	28	A	60	A
	M (76/37)	26	D	62	A
	F (72/39)	27	A	58	ni A/ ni D
	F (39/4)	26	A	59	A
	M (17/3)	20	A	55	A

** indique plus de 1 an de traitement ; âge exprimé en années ; sem : semaines ; F : féminin ; M : masculin ; Amb : ambulatoire ; Non Amb : Non ambulatoire ; A : amélioration ; D : dégradation ; ni A/ni D : ni amélioration ni dégradation.*

Par rapport aux aspects moteurs, tous les patients qui ont constaté une amélioration de leur équilibre, leur motricité et leur coordination en 2024, continuent d'affirmer qu'ils ressentent cette amélioration sauf une personne qui déclare ressentir ni amélioration ni dégradation de sa coordination (**Tableau 14**).

Tableau 14: Perception de la stabilisation de l'équilibre, la motricité et la coordination en fonction des réponses des adhérents AFAF aux questionnaires AFAF de 2024 et 2025.

Equilibre

		Enquête 2024		Enquête 2025	
	Patient (âge en 2025/ âge 1ers symptômes)	Durée du traitement (sem)	Réponse	Durée du traitement (sem)	Réponse
Amb.	F (24/15)	38	A	68*	A
	F (21/17)	27	A	60	A
	M (69/45)	20	A	52	A
Non Amb.	F (21/10)	35	A	68*	A
	F (53/10)	31	A	62	A
	M (42/25)	28	A	60	A
	F (39/4)	26	A	59	A

Motricité

		Enquête 2024		Enquête 2025	
	Patient (âge en 2025/ âge 1ers symptômes)	Durée du traitement (sem)	Réponse	Durée du traitement (sem)	Réponse
Amb.	F (24/15)	38	A	68*	A
	F (21/17)	27	A	60	A
Non Amb.	F (21/10)	35	A	68*	A
	F (39/4)	26	A	59	A

Coordination

		Enquête 2024		Enquête 2025	
	Patient (âge en 2025/ âge 1ers symptômes)	Durée du traitement (sem)	Réponse	Durée du traitement (sem)	Réponse
Amb.	F (21/17)	27	A	60	A
Non Amb.	F (21/10)	35	A	68*	A
	F (53/10)	31	A	62	ni A/ ni D
	F (39/4)	26	A	59	A

** indique plus de 1 an de traitement ; âge exprimé en années ; sem : semaines ; F : féminin ; M : masculin ; Amb : ambulatoire ; Non Amb : Non ambulatoire ; A : amélioration ; D : dégradation ; ni A/ni D : ni amélioration ni dégradation.*

Dans l'ensemble, l'effet bénéfique perçu par la plupart des répondants concernant l'élocution, la fatigabilité, l'équilibre, la motricité et la coordination, même s'ils sont peu nombreux, montre une persistance de cette amélioration ou bien une stabilisation de l'effet d'une année sur l'autre, ceci même avant un an de traitement.

4.8 Amélioration de la Qualité de vie

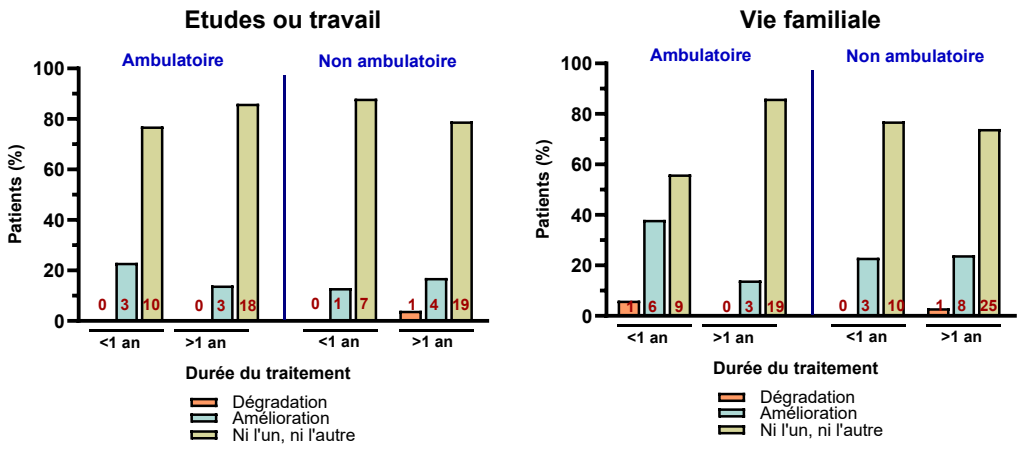
Nous avons demandé aux patients s'ils ont constaté des changements ou modifications dans leurs études ou travail, vie familiale, vie sociale ou dans leur moral.

Environ 1/3 des patients non ambulatoires qui ont reçu le Skyclarys pendant plus de 1 an ne sont pas concernés par des changements dans leurs études ou leur travail, dans leur vie quotidienne (**Tableau 15**).

Tableau 15: Changements dans la qualité de vie.
Distribution de réponses de patients concernés et non concernés. Les réponses vides n'ont pas été considérées.

Changements dans la qualité de vie						
Nombre de patients qui ont répondu (n=94)			**Études ou travail**	**Vie familiale**	**Vie sociale**	**Moral**
Ambulatoire (n=41)	< 1 an (n=17)	Patients concernés	13	16	16	15
		Patients non concernés	4	1	1	2
	> 1 an (n=24)	Patients concernés	21	22	24	23
		Patients non concernés	3	2	0	1
Non ambulatoire (n=53)	< 1 an (n=16)	Patients concernés	8	13	13	15
		Patients non concernés	8	3	3	1
	> 1 an (n=37)	Patients concernés	24	34	36	35
		Patients non concernés	13	3	1	2

La plupart de personnes interrogées n'ont pas perçu d'amélioration ni de dégradation de leur qualité de vie, comme en témoignent les réponses aux changements observés dans leur vie professionnelle, familiale ou sociale, ou dans leur moral. Cependant, certains patients perçoivent une amélioration de leur qualité de vie, surtout les patients non ambulatoires après 1 an de traitement (**Figure 16**).



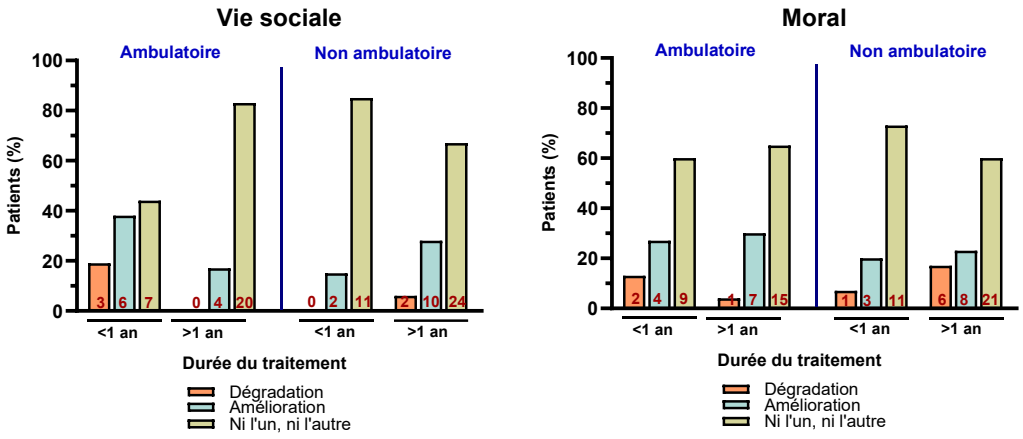


Figure 16. Changements dans la qualité de vie depuis la prise du Skyclarys.
Pourcentage de réponses de patients ambulatoires (n=41) et non ambulatoires (n=53). Réponses en % normalisées par rapport au nombre total de patients concernés. Les valeurs en rouge à l'intérieur des barres indiquent le nombre de patients ayant répondu.

Le **Tableau 16** montre les verbatims exprimés concernant la qualité de vie.

Tableau 16: Verbatims exprimés concernant la Qualité de Vie.

Etudes ou travail	
Ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
	Plus d'autonomie (amélioration).
	Meilleure élocution, notamment.
	Rien.
	Rien à signaler.
	Pas de changement.
Non ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
J'arrive à plus fournir des efforts sans être épuisé.	Plus de performance avec le logiciel vocal et plus d'aisance pour parler avec mes collègues.
	Plus facile de dicter à mes secrétaires et plus facile de parler à mes camarades de promotion.
	J'ai davantage d'énergie et moins de douleurs.
	Temps de concentration plus limité. Rien à signaler.
	Pas de changement.

Vie familiale	
Ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**

Amélioration de l'élocution.	Moins de fatigue, donc plus d'énergie, je pense être plus impliqué et plus disponible pour ma famille.
	Nombreuses chutes qui sont évitées.
	Plus d'autonomie.
	Pas de changement.
	Rien.
Non ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Plus entendue.	Transfert plus aisé pour l'aidant. Plus de souffle (amélioration).
Je suis plus rassurée, donc je suis plus sereine.	Je peux mieux discuter avec mes grands-parents, faire entendre et comprendre mes points de vue lors de discussions animées en famille avec ma soeur et mes parents.
Ménage (amélioration).	J'ai moins de fatigue après les activités quotidiennes.
Envie plus fréquente d'uriner. Changement fréquent des protections (33 semaines).	Moins de gaîté et plus fatigable.
	Rien à signaler.
	Elocution améliorée, je conduis mieux mon fauteuil.
	Pas de changement.

Vie sociale	
Ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Amélioration de l'élocution.	Je ne sais pas si c'est un rapport avec le médicament le fait que je sois moins fatigué, mais je suis plus impliqué dans les relations de vie sociale qu'avant.
Diminution des sorties (33 semaines).	Meilleures énergies et concentrations pour sortie avec amis.
	Amélioration, confiance en moi.
	Pas de changement.
	Pas de changement.
	Rien.
Non ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Plus de facilité à communiquer donc je parle plus.	Davantage envie de loisirs, meilleure communication dans l'expression.
L'impression de plus participer (amélioration)	J'ai plus de proximité avec mes amis du fait que je parle plus distinctement.
J'arrive mieux à prendre la parole en groupe.	Meilleure conduite de mon fauteuil et meilleure élocution.
	Moins de fatigue, plus d'entraînement, m'exprime mieux et plus fort quelquefois et meilleure audition en milieu bruyant.

	Je peux marcher à nouveau avec mes béquilles plus longtemps et avec mon kiné je marche à chaque séance sur plusieurs mètres en recurvatum* (* hyperextension du genou).
	Meilleure compréhension.
	Le fait d'être moins fatigué et d'avoir une meilleure élocution.
	Moins intégré dû au problème d'élocution.
	Pas de changement.
	Grande fatigue, et hantise permanente liée aux problèmes urinaires.

Moral	
Ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Rendez-vous médicaux prenant beaucoup de place dans le quotidien.	J'ai plus goût à faire des activités telles que piscine, tricycle, sortir avec des amis.
	Être plus serein dans certaines situations (gestion des chutes).
	Quand je ne suis pas fatiguée je suis plus active à la maison, tâches ménagères et me sens plus à l'aise en société.
	Faire du sport, amélioration du régime alimentaire.
	Je fais plus de sport, d'activités
	Déçue puisque selon moi ça dégrade plus vite qu'autre chose.
Non ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Je me bats toujours autant et je m'adapte.	Je coordonne mieux donc je ne fais plus tomber mes couverts. Je ne fais plus que très peu de fausses routes, j'ai plus de facilité à parler, ce qui améliore ma communication avec les autres.
La maladie s'est quelque peu stabilisée, ce qui est rassurant et aide à prévoir l'avenir.	J'ai beaucoup plus envie de rencontrer les amis, d'aller au cinéma, théâtre, faire des visites de musées, aller au restaurant, bar, programmer des vacances à toutes les saisons.
Meilleure mine.	Je vais deux fois dans la semaine à la salle de sport et au kiné (amélioration).
Irritabilité plus grande, notamment par rapport à ma dysarthrie.	Mes attentes n'étant pas une amélioration, mais plutôt une stabilisation, le résultat est pour moi à la hauteur de mes attentes.
	Plus d'entrain, j'accueille mieux les embêtements.
	Je participe plus dans la vie sociale.
	Meilleure élocution.

	Pas de changement.
	Manque d'envie (peut-être dû à la fatigue).
	Un peu plus anxieux, voir que cela ne fonctionne pas.
	Plus de moments tristes à associer ou pas au Skyclarys.
	La fatigue et les problèmes urinaires m'empêchent de réaliser mes objectifs au quotidien : répondre aux mails, faire de la musique, sortir (accompagné).
	J'ai un moral qui fait les montagnes russes en fonction de ce qui m'arrive dans la vie.

Enfin, nous avons posé la question : « Diriez-vous que le Skyclarys améliore votre qualité de vie ? ».

La plupart des patients (N=95 ; 80 %) sur les 119 personnes (117 Ambulatoires + Non Ambulatoires et 2 NR) constituant la population analysée, ont fourni une réponse. Parmi eux, 56% estiment que le traitement améliore leur qualité de vie, et 44% que non. La plupart des réponses proviennent de patients actuellement sous traitement (**Tableau 17**).

Tableau 17: Amélioration de la qualité de vie.

Amélioration de la qualité de vie				
Nombre de patients ayant fourni une réponse		**95 (80%)**		
Nombre de patients n'ayant pas répondu		**24 (20%)**		
	N (%)	**Oui**	**Non**	**Pas de réponse**
Patients sous traitement Skyclarys	**113 (95%)**	**53 (47%)**	**41 (36%)**	**19 (17%)**
Ambulatoires	49 (43%)	25 (51%)	14 (29%)	10 (20%)
Non ambulatoires	62 (55%)	28 (45%)	26 (42%)	8 (13%)
Déplacement NR	2 (2%)		1 (50%)	1 (50%)
Patients ayant arrêté le traitement	**6 (5%)**		**1 (17%)**	**5 (83%)**
Ambulatoires	1 (17%)		1 (100%)	
Non ambulatoires	5 (83%)			5 (100%)
Déplacement NR				
TOTAL (sur 95 réponses)		**Oui : 53 (56%)**	**Non : 42 (44%)**	

Si on considère les réponses des patients ambulatoires et non ambulatoires, 56,38% ont répondu oui, et 43,62% non. Nous observons un pourcentage de réponses positives légèrement plus élevé chez les personnes ambulatoires (**Figure 17**).

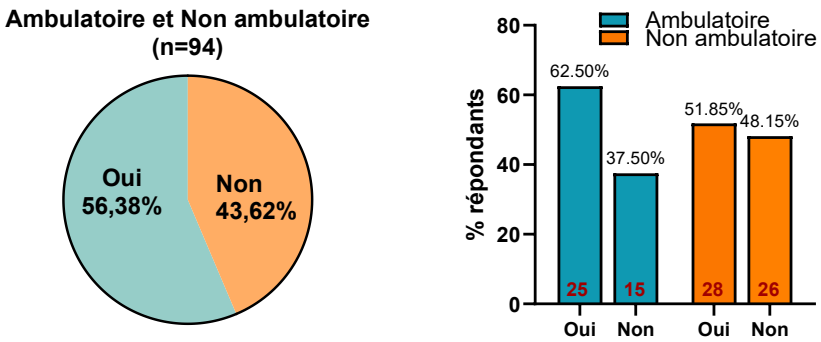


Figure 17. Amélioration dans la qualité de vie depuis la prise du Skyclarys

4.9 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 18**).

Tableau 18: Espoirs des patients concernant les aspects moteurs, la maladie et le Skyclarys.

Ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
Que le médicament ralentisse la dégradation de l'équilibre	Après un an de traitement, j'aimerais voir des améliorations de mon état de santé
Une avancée de la maladie plus lente	Ralentir la maladie
Dans la thérapie génique	Que le Skyclarys augmente mon espérance de vie
Dans la découverte d'un nouveau traitement	Qu'un autre médicament plus performant soit mis sur le marché
Trouver un traitement pour guérir	J'espère pouvoir rester autonome et pouvoir m'occuper de ma fille le plus longtemps possible
Amélioration de la vie quotidienne, avoir plus d'endurance sur les jambes, stopper l'évolution de la maladie	Une stabilisation en attendant un médicament
Reprendre la marche sur un peu plus de longue distance	Ralentir l'évolution avant de pouvoir bénéficier d'un traitement curatif
Améliorer la motricité de mes jambes	Un traitement qui stabilise vraiment, au mieux une thérapie génique
	Un traitement efficace
	Pouvoir marcher normalement
	Retrouver l'énergie ressentie au début du traitement
	Retrouver un peu d'autonomie
	Aucun, je n'en ai plus
	Aucun
	Trouver un jour le médicament qui pourra nous guérir
	Garder une pseudo stabilisation de mon état actuel le plus longtemps possible

Non Ambulatoire	
Moins de 1 an de traitement	**Plus de 1 an de traitement**
La guérison ou une amélioration	Améliorer ma vue et mon audition qui se sont dégradées depuis 1 an
Une amélioration de l'équilibre	Plus de règles et une vraie vessie ! Meilleure préhension et des gestes précis, meilleur équilibre, je ferai avec ou sans !
Constater une amélioration de la maladie	Retrouver l'équilibre
Une voix plus compréhensible et moins de toux et de fausses routes	Me soutenir pour mieux travailler contre l'évolution de la maladie, voire revenir en arrière sur certains symptômes (ex. Élocution)
Que cela continue à améliorer ma vie quotidienne et puisse ralentir l'évolution de ma maladie	Une amélioration générale
Pouvoir marcher un peu plus, avoir une meilleure posture et un meilleur équilibre assis, avoir une meilleure coordination des membres supérieurs	Une évolution moins rapide
J'espère pouvoir retrouver plus de mobilité et que la maladie n'évolue plus	Que mon état s'améliore encore davantage
J'aimerais pouvoir gagner en tonus musculaire	Gagner en force ou tonus musculaire, pouvoir marcher un peu plus (car je marche un peu avec le déambulateur), et réduire les douleurs
J'espère qu'il va ralentir l'évolution de la maladie	Je n'en ai jamais vraiment eu au niveau médical ou de la recherche. On nous indique toujours des choses approximatives qui n'arrivent pas (ou très peu), donc je n'ai pas créé d'attentes afin de ne pas être déçu, ce qui est trop souvent le cas des porteurs et porteuses de maladies orphelines. Les médecins, institutions et laboratoires sont directement responsables de cette situation de désillusion touchant les personnes atteintes, même si cela part d'un bon sentiment. Mon espoir se trouve dans une société totalement accessible où le handicap est accepté et où la ségrégation dont font preuve l'espace public, les habitations et les institutions s'arrête.
Que la thérapie génique existe pour avoir des effets immédiats et par une seule injection. Car au bout d'1 an, il n'y a que de légères améliorations. (Arrêt du traitement à 51 semaines)	J'ai l'espoir que les différents traitements permettront de stopper l'évolution de l'AF et même restaureront la frataxine. J'espère que plusieurs traitements permettront aux enfants de vivre sans handicap.
Que d'autres molécules puissent voir le jour	Dans la thérapie génique
	Remarcher ou au moins maintenir ma santé neurologique
	J'espère que mes doigts se détendent encore plus et que ma voix continue à s'améliorer encore. Je suis consciente de mon âge, que le médicament ne peut pas réparer 40 ans de dégâts.
	Que mes doigts arrivent à se détendre plus, que la parole s'améliore encore
	Plus le temps passe et plus Skyclarys à l'air inutile
	Aucun

	J'espère une amélioration au niveau de la déglutition, au niveau des liquides
	Mes espoirs seraient un jour ne plus avoir de douleurs qu'on ne peut expliquer
	Meilleure prise en charge pour ralentir la maladie
	Plus on avance et plus les chercheurs font des découvertes, je me dis qu'ils arriveront bien à stopper la maladie, voir réparer notre gène défaillant
	Aucun
	Mes espoirs sont de stabiliser la maladie et d'améliorer mon élocution et ma coordination
	De ralentir la maladie
	Avoir au moins une stabilisation de mon état global par rapport à la fatigue
	Guérir, pouvoir rejouer au tennis et gagner Roland Garros en simple messieurs en 2030 !
	Qu'il y ait une évolution positive ressentie !
	Que ma maladie se stabilise vu qu'a priori il n'y a pas vraiment d'amélioration
	Que la stabilisation de la maladie continue
	Stopper l'évolution de la maladie

4.10 Niveau de satisfaction

Au global 59 personnes sur 95, ce qui représente 62% de réponses, se déclarent satisfaites (**Figure 18**).

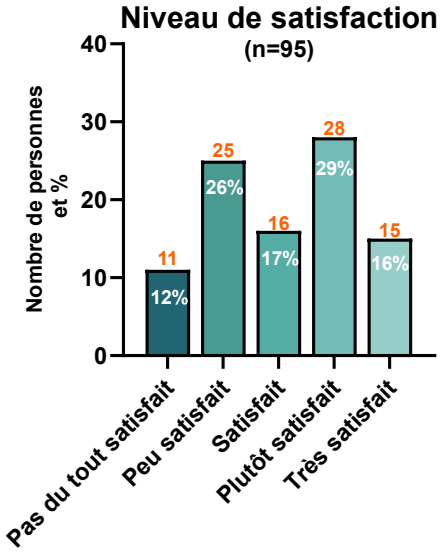


Figure 18. Niveau de satisfaction.
Niveau de satisfaction des personnes qui sont actuellement sous traitement Skyclarys plus ceux qui ont arrêté.

5 Conclusions

Cette enquête nous a permis de recueillir les témoignages en vie réelle des patients atteints de l'ataxie de Friedreich, adhérents à l'AFAF ou non, exposés ou ayant été exposés au Skyclarys (omaveloxolone). Skyclarys est disponible en Accès Précoce en France depuis décembre 2023 pour le traitement de l'AF pour les personnes de plus de 16 ans.
La plupart des patients suivent leur traitement de manière régulière avec un nombre réduit d'arrêts.
Dans notre enquête, plus de la moitié des répondants sont non ambulatoires (64%), contrairement à la population des études MOXIe et MOXIe-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 répondants respectivement ambulatoires et non ambulatoires, ont principalement constaté une amélioration de leur :
  - Elocution (44% et 67%)
  - Fatigabilité (35% et 28%)
  - Motricité (35% et 31%)
  - Préhension (25% et 33%)
  - Fausses routes (38% et 29%)
  - Coordination (33% et 26%)
  - Equilibre (29% et 32%)

- 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).
- Les améliorations sont apparues principalement au cours des 6 premiers mois de traitement et se maintiennent après 1 an de traitement.
- Les effets secondaires ont été principalement signalés au cours des trois premiers mois de traitement.
- Sur 119 personnes exposées au Skyclarys, les effets secondaires négatifs rapportés et les problèmes cardiaques ont amené l'arrêt du traitement pour 6 personnes (5%) et une interruption temporaire du traitement pour 15 (12,6%) personnes.
- Une proportion importante de patients (23%-75%) ne constate ni amélioration ni aggravation. Ces ressentis peuvent se traduire comme une perception d'une certaine stabilisation, de non-évolution de la maladie.
- La plupart des répondants ayant constaté une amélioration de leur élocution, fatigabilité, équilibre, motricité et coordination lors de notre enquête de 2024, continuent d'affirmer qu'ils ressentent cette amélioration d'une année sur l'autre.
- Un pourcentage légèrement plus élevé chez les personnes ambulatoires (~62%) par rapport aux personnes non ambulatoires (~52%) estime que Skyclarys améliore leur qualité de vie.
- Les principaux espoirs restent de ralentir la progression de la maladie, surtout exprimée par les personnes en FR, et d'améliorer l'aspect moteur. Les personnes qui peuvent encore marcher et celles qui sont en FR espèrent que le médicament pourra continuer à être délivré.

Ces résultats confirment nos premiers résultats des ressentis en vie réelle obtenus lors de notre précédente enquête. Une meilleure élocution et la diminution de la fatigabilité, des ressentis majeurs après le traitement avec Skyclarys, sont des facteurs très importants pour la qualité de vie des patients ambulatoires et non ambulatoires.

La persistance des améliorations dans le temps d'après les témoignages des patients ayant répondu à nos enquêtes en 2024 et 2025, plus l'absence de dégradation des symptômes après un an de traitement avec Skyclarys, constituent un avantage majeur pour les patients atteints d'ataxie de Friedreich.

6 Annexe Questionnaire Enquête Skyclarys

Bonjour,

En France, des personnes atteintes de l'ataxie de Friedreich (AF) bénéficient actuellement d'un traitement, le Skyclarys, prescrit selon une procédure spécifique dans une maladie rare, appelée Accès Précoce.

Comme nous l'avons déjà fait en octobre 2024, nous vous sollicitons pour une enquête de vie réelle sur vos ressentis avec le Skyclarys, pour appuyer le dossier auprès des autorités de santé.

Nous avons besoin du retour de tout le monde, que vous preniez le Skyclarys ou non. Vos retours sont primordiaux pour l'ensemble de la communauté AF dans le monde. Ils nous permettront de faire remonter aux instances, des éléments de vie réelle, c'est-à-dire votre quotidien, qui ne sont pas évalués actuellement avec les échelles de mesure utilisées.

Ce questionnaire cible principalement vos ressentis depuis la prise du Skyclarys. Vos proches ont aussi la parole à la fin du questionnaire. Ils peuvent ainsi s'exprimer sur les changements qu'ils observent chez vous.

Les données collectées par le biais de ce formulaire sont anonymes. Aucune donnée à caractère personnel ne sera recueillie. Elles sont enregistrées et feront l'objet d'un traitement par l'AFAF afin de procéder à une analyse de l'effet du traitement du Skyclarys auprès des malades de l'AF. Les résultats de cette enquête seront rendus publics par l'AFAF et publiés notamment sur le site Web de l'AFAF.

Nous vous invitons à renseigner ce rapide questionnaire jusqu'au 30 juin 2025.

Cordialement,
L'équipe AFAF en charge de ce dossier.

1- Déroulé de l'enquête

1.1 Avez-vous répondu au questionnaire sur vos ressentis depuis la prise du Skyclarys, réalisé par l'AFAF en octobre 2024 ?

 Oui Non

2- Répondant AF - questions générales

2.1 Quel est votre sexe ?

 Féminin Masculin Je ne souhaite pas le préciser

2.2 Quel est votre moyen de déplacement le plus fréquent ?

 Je marche sans aide
 Je marche avec une aide humaine
 Je marche avec une canne, béquille ou bâton
 Je marche avec un déambulateur
 Je me déplace en fauteuil manuel
 Je me déplace en fauteuil électrique

2.3 Avez-vous changé votre moyen de déplacement le plus fréquent depuis la précédente enquête ?

 Oui Non

2.4 Quel était votre mode de déplacement le plus fréquent en octobre 2024 ?

 Je marchais sans aide
 Je marchais avec une aide humaine
 Je marchais avec une canne, béquille ou bâton
 Je marchais avec un déambulateur
 Je me déplaçais en fauteuil manuel
 Je me déplaçais en fauteuil électrique

2.5 Êtes-vous actuellement sous traitement par Skyclarys ?

 Oui
 Non, je ne l'ai jamais pris
 Non, je l'ai pris mais je l'ai arrêté

2.6 Quels autres médicaments prenez-vous ?

3- Répondant AF : Vous prenez ou vous avez pris le Skyclarys

3.1 Combien de gélules prenez-vous ?

 1 2 3

3.2 Y a-t-il eu des périodes d'interruption temporaire du Skyclarys ?

 Oui Non

4- Répondant AF : vous ne prenez plus le Skyclarys

4.1 Pourquoi avez-vous arrêté le Skyclarys ?

5- Répondant AF : vous n'avez jamais pris le Skyclarys

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

 Non éligible car moins de 16 ans
 Contre indiqué avec mes problèmes cardiaques
Contre indiqué pour des problèmes hépatiques
 Contre indiqué, je suis enceinte
 Je ne suis pas convaincu/e des bénéfices
 Neurologue pas convaincu actuellement
 Je redoute les effets secondaires
 Pas connaissance de neurologue pour le prescrire
 Autre

6- Répondant AF - Vos ressentis avec le Skyclarys

6.1 Avez-vous constaté des effets sur la fatigabilité ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.2 Avez-vous constaté des effets sur l'équilibre (station debout pour les marchants, du tronc pour ceux en fauteuil) ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.3 Avez-vous constaté des effets sur la coordination ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.4 Avez-vous constaté des effets sur la motricité (par exemple, lors de séances de kiné, si vous avez un suivi régulier) ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.5 Avez-vous constaté des effets sur la préhension (action de saisir, retenir, agripper) des membres supérieurs (bras/main) ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.6 Avez-vous constaté des effets sur l'élocution ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.7 Avez-vous constaté des effets sur les fausses routes ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.8 Avez-vous constaté des effets sur l'incontinence urinaire ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.9 Avez-vous constaté des effets sur le nystagmus ou la vision ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.10 Avez-vous constaté des effets sur vos sensations douloureuses ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.11 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant la fatigabilité ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.12 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant l'équilibre (station debout pour les marchants, du tronc pour ceux en fauteuil) ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.13 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant la coordination ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.14 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant la motricité (par exemple, lors de séances de kiné, si vous avez un suivi régulier) ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.15 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant la préhension (action de saisir, retenir, agripper) des membres supérieurs (bras/main) ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.16 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant l'élocution ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.17 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant les fausses routes ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.18 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant l'incontinence urinaire ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.19 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant le nystagmus ou la vision ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.20 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant vos sensations douloureuses ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

6.21 Quels sont les ressentis positifs que vous remarquez depuis la prise du Skyclarys ? Expliquer par des exemples de votre quotidien

6.22 Avez-vous ressenti ou constaté des effets négatifs ? Si oui, préciser au bout de combien de temps de traitement ils sont apparus (sinon cocher "non concerné").

- Maux de tête ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Maux de ventre ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Autres douleurs ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Nausées ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Problèmes digestifs ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Problèmes intestinaux (diarrhée/constipation) ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Saignements de nez ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Fatigue ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Perte d'appétit ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Prise de poids ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Sécheresse de la peau ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Envie d'uriner plus fréquente (moins contrôlable) ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Moins de coordination ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Plus de spasmes ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Troubles de sommeil ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Effets sur votre du cycle menstruel - augmentation de fréquence ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Effets sur votre du cycle menstruel - diminution de fréquence ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Effets sur votre du cycle menstruel - plus abondant ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Effets sur votre du cycle menstruel - moins abondant ?
  - ☐ Moins de 3 mois ☐ 3-6 mois ☐ 6-9 mois ☐ 9-12 mois
  - ☐ Plus de 1 an ☐ Non concerné

- Effets sur votre cycle menstruel - plus douloureux ?

Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
Plus de 1 an Non concerné

- Effets sur votre cycle menstruel - moins douloureux ?
Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
Plus de 1 an Non concerné

6.23 Quels sont les autres ressentis négatifs que vous remarquez depuis la prise du Skyclarys ?

6.24 A-t-il été constaté une modification de vos analyses biologiques nécessitant un arrêt ou une modification de posologie ?
Oui Non

6.25 Avez-vous dû être hospitalisé/e depuis la prise de Skyclarys (hospitalisation non programmée) ?
Oui Non

6.26 Cette hospitalisation était-elle liée à un évènement cardiaque ?
Oui Non

6.27 Cette hospitalisation était-elle liée à un déséquilibre de diabète ?
Oui Non

6.28 Cette hospitalisation était-elle liée à un événement digestif ?
Oui Non

6.29 Depuis votre prise de Skyclarys, avez-vous constaté des changements dans vos études ou votre travail ?
Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.30 Depuis votre prise de Skyclarys, avez-vous constaté des changements dans votre vie familiale ?
Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.31 Depuis votre prise de Skyclarys, avez-vous constaté des changements dans votre vie sociale ?
Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

6.32 Depuis votre prise de Skyclarys, avez-vous constaté des modifications de votre moral ?
Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

Expliquez avec des exemples de votre quotidien :

6.33 Quels sont vos espoirs ?

6.34 Diriez-vous que le Skyclarys améliore votre qualité de vie ?
Oui Non

Précisez au besoin :

6.35 Avez-vous la perception que votre maladie s'est :
- Dégradée ?
Oui Non Un peu
- Stabilisée ?
Oui Non Un peu
- Améliorée ?
Oui Non Un peu

6.36 Au global, êtes-vous satisfait/e du Skyclarys ?
Non, pas du tout satisfait Peu satisfait Satisfait Plutôt satisfait Très satisfait

7- Répondant AF, passez-vous la parole à un aidant ?

7.1 Mon aidant souhaite également apporter sa contribution à cette enquête :
Oui Non

8- Répondant Aidant - Quels changements observez-vous chez votre proche ?

8.1 Avez-vous répondu au questionnaire sur vos ressentis concernant votre proche depuis la prise du Skyclarys, réalisé par l'AFAF en octobre 2024 ?

 Oui Non

8.2 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur sa fatigabilité ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.3 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur son équilibre (station debout pour les marchants, du tronc pour ceux en fauteuil) ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.4 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur sa coordination ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.5 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur sa motricité (par exemple, lors de séances de kiné, si il/elle a un suivi régulier) ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.6 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur sa préhension (action de saisir, retenir, agripper) des membres supérieurs (bras/main) ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.7 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur son élocution ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.8 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur ses fausses routes ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.9 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur son incontinence urinaire ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.10 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur son nystagmus ou sa vision ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.11 Depuis la prise du Skyclarys, avez-vous constaté chez votre proche des effets sur ses sensations douloureuses ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.12 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant la fatigabilité ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.13 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant l'équilibre (station debout pour les marchants, du tronc pour ceux en fauteuil) ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.14 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant la coordination ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.15 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant la motricité (par exemple, lors de séances de kiné, si vous avez un suivi régulier) ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.16 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant la préhension (action de saisir, retenir, agripper) des membres supérieurs (bras/main) ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.17 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant l'élocution ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.18 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant les fausses routes ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.19 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant l'incontinence urinaire ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.20 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant le nystagmus ou la vision ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.21 Si vous avez constaté une amélioration ou une dégradation, préciser au bout de combien de temps de traitement elles sont apparues concernant vos sensations douloureuses ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

8.22 Quels sont les changements positifs que vous remarquez depuis la prise du Skyclarys ? Expliquer par des exemples du quotidien

8.23 Avez-vous ressenti ou constaté des effets négatifs chez lui/elle ? Si oui, préciser au bout de combien de temps de traitement ils sont apparus (sinon cocher "non concerné").

- Maux de tête ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Maux de ventre ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Autres douleurs ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Nausées ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Problèmes digestifs ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Problèmes intestinaux (diarrhée/constipation) ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Saignements de nez ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Fatigue ?

 Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
 Plus de 1 an Non concerné

- Perte d'appétit ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Prise de poids ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Sécheresse de la peau ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Envie d'uriner plus fréquente (moins contrôlable) ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Moins de coordination ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Plus de spasmes ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Troubles de sommeil ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Effets sur votre du cycle menstruel - augmentation de fréquence ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Effets sur votre du cycle menstruel - diminution de fréquence ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Effets sur votre du cycle menstruel - plus abondant ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Effets sur votre du cycle menstruel - moins abondant ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Effets sur votre cycle menstruel - plus douloureux ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

- Effets sur votre cycle menstruel - moins douloureux ?
  Moins de 3 mois 3-6 mois 6-9 mois 9-12 mois
  Plus de 1 an Non concerné

8.24 Quels sont les autres changements négatifs que vous remarquez depuis la prise du Skyclarys ? Expliquer par des exemples du quotidien

8.25 A-t-il été constaté une modification de ses analyses biologiques nécessitant un arrêt ou une modification de posologie ?
  Oui Non Non concerné

8.26 Votre proche a-t-il dû être hospitalisé depuis la prise de Skyclarys (hospitalisation non programmée) ?
  Oui Non

8.27 Depuis que votre proche prend du Skyclarys, avez-vous constaté des changements dans vos études ou votre travail ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.28 Depuis que votre proche prend du Skyclarys, avez-vous constaté des changements dans votre vie familiale ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.29 Depuis que votre proche prend du Skyclarys, avez-vous constaté des changements dans votre vie sociale ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

8.30 Depuis que votre proche prend du Skyclarys, avez-vous constaté des modifications de votre moral ?

 Amélioration Dégradation Ni l'un, ni l'autre Non concerné

Expliquez ces modifications avec des exemples concrets :

8.31 Quels sont vos espoirs ?

8.32 Diriez-vous que le Skyclarys améliore la qualité de vie de votre proche ?

 Oui Non

Précisez si besoin :

8.33 Avez-vous la perception que la maladie de votre proche s'est :

- Dégradée ?

 Oui Non Un peu

- Stabilisée ?

 Oui Non Un peu

- Améliorée ?

 Oui Non Un peu

8.34 Au global, êtes-vous satisfait/e du Skyclarys ?

 Non, pas du tout satisfait Peu satisfait Satisfait Plutôt satisfait Très satisfait

9 – Ecran de fin

Merci pour le temps que vous avez bien voulu consacrer à remplir cette enquête !