**Résumé de l’enquête MYOPATH d’avril à juin 2018**

**Objectif et taille :**

L’objectif principal de l’enquête MYOPATH était d’évaluer la sensibilisation et l’accès à la mexilétine à travers l’Europe, en documentant les difficultés rencontrées par les patients pour obtenir de la mexilétine et le préjudice ultérieur causé par ces limitations au niveau de l’approvisionnement, la sensibilisation et l’accès.

L’enquête Myopath a été menée en deux phases

* Entretiens personnels : 17 entretiens dans 12 pays, dont 12 avec des médecins et 5 avec des représentants des patients
* Enquête en ligne : 390 questionnaires en ligne remplis par des patients et soignants ont été analysés. Les données découlent de patients de plus de 10 pays européens. Les contributeurs majeurs ont été l’Allemagne (> 240) et l’Italie (> 60).

À notre connaissance, il s’agit de la plus grande base de données créée à ce jour concernant la vie et le traitement médical, y compris l’utilisation, l’accès et la sensibilisation à la mexilétine, chez des patients atteints de troubles myotoniques en Europe.

**Principaux résultats de Phase 1 – Entretiens personnels :**

Sensibilisation : Dans l’ensemble des douze états-membres de l’UE évalués, la sensibilisation à la mexilétine en tant que traitement des symptômes de la myotonie n’est pas exhaustive.

Accès : Dans l’ensemble des douze états-membres de l’UE évalués, la France est le seul pays où un approvisionnement en mexilétine constant et fiable est disponible pour ses patients. Les autres onze pays ont un accès à la mexilétine comme traitement des symptômes de la myotonie limité ou inexistant.

Les professionnels de la santé, défenseurs des patients et les patients interrogés ont présenté des exemples de cas pour décrire l’expérience des patients atteints de troubles myotoniques avec la mexilétine. Les exemples de cas comprennent :

* *Suite à l’arrêt de MEXITIL® :* Ces exemples décrivent les répercussions pour les patients lorsqu’ils n’ont plus eu accès au MEXITIL® de Boehringer Ingelheim après l’interruption du produit.
* *Manque d’accès à la mexilétine pour les patients :* Ces exemples décrivent l’impact que l’absence de traitement par mexilétine a sur les symptômes et la qualité de vie des patients.
* *Interruption du traitement par mexilétine*: Ces exemples décrivent l’impact que les interruptions de traitement par mexilétine ont sur les symptômes et la qualité de vie des patients.
* *Expérience des patients avec le traitement par mexilétine :* Ces exemples décrivent l’impact que le traitement par mexilétine a sur les symptômes et la qualité de vie des patients.

**Principaux résultats de la phase 2 – Enquête en ligne :**

Il n’y a aucune disponibilité du produit autorisé et commercialisé en France pour les patients situés dans d’autres états-membres de l’UE. Même en France, Italie et Hongrie (où le produit est en principe disponible) les patients rencontrent des difficultés pour obtenir le traitement.

20 % (n = 78) des patients participants atteints de myotonie sont actuellement traités par la mexilétine ou l’ont été par le passé. 14 % (n = 54) des patients sont actuellement sous mexilétine. 38 % des patients actuellement sous traitement par mexilétine rapportent avoir des difficultés à obtenir leur traitement.

Indépendamment de leur éligibilité au traitement, 68 % des patients en moyenne parmi les patients n’ayant jamais été traités par mexilétine n’ont jamais entendu parler de l’option de traitement.

Les 20 % (n = 78) de patients participants qui ont été traités ou prennent actuellement de la mexilétine ont évalué l’impact du traitement par le médicament sur leur qualité de vie. Le tableau ci-dessous indique le pourcentage de patients atteints de myotonie dystrophique de type 1 (MD1) et de patients atteints de myotonie non-dystrophique (MND) ayant rapporté une amélioration au niveau de certains aspects de leur qualité de vie suite à la prise de mexilétine :

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| Diagnostic :Impact sur : | MD1 | MD2 | MND |
| Bien-être émotionnel | 41 % (n = 24) | *Trop peu de répondants* | 91 % (n = 11) |
| Exercice/sports | 47 % (n = 19) | *Trop peu de répondants* | 83 % (n = 12) |
| Social/communication | 48 % (n = 21) | *Trop peu de répondants* | 85 % (n = 13) |
| Mobilité |  33 % (n = 21) | *Trop peu de répondants* | 85 % (n = 13) |
| Tâches quotidiennes simples | 46 % (n = 22) | *Trop peu de répondants* | 66 % (n = 9) |
| Capacité à travailler | 44 % (n = 25) | *Trop peu de répondants* | 90 % (n = 11) |

Changement dans la qualité de vie : % de patients revendiquant une amélioration modérée ou considérable lors de l’utilisation de mexilétine (réponses des patients utilisant la mexilétine, maintenant ou dans le passé) ; MD1 (Myotonie dystrophique de type 1) ; MD2 (Myotonie dystrophique de type 2)

***Il est prévu que des interprétations et conclusions issues des résultats ci-dessus et de nombreuses données supplémentaires soient publiées au cours des 6 premiers mois de 2019.***