

CADTH Reimbursement Review

Patient Input

INCOBOTULINUMTOXIN A (Xeomin)
(Merz Pharmaceuticals GMBH)

Indication: Chronic sialorrhea associated with neurological disorders.

CADTH received patient input from:

Parkinson Québec

March 19, 2021

Disclaimer: The views expressed in each submission are those of the submitting organization or individual; not necessarily the views of CADTH or of other organizations.

CADTH does not edit the content of the submissions.

CADTH does use reasonable care to prevent disclosure of personal information in posted material; however, it is ultimately the submitter's responsibility to ensure no personal information is included in the submission. The name of the submitting patient group and all conflict of interest information are included in the posted patient group submission; however, the name of the author, including the name of an individual patient or caregiver submitting the patient input, are not posted.

CADTH Reimbursement Review Patient Input Template

Name of the Drug and Indication	Xeomin – Sialorrhée & Maladie de Parkinson
Name of the Patient Group	Parkinson Québec
Author of the Submission	██████████
Name of the Primary Contact for This Submission	██████████
Email	██████████████████████████████
Telephone Number	██████████████████

1. About Your Patient Group

Describe the purpose of your organization. Include a link to your website.

Parkinson Québec est un organisme à but non lucratif possédant un conseil d'administration (CA) propre. L'organisation se déploie autour de sa présidente, Mme Stéphanie Proulx, en trois axes principaux:

- 1 - Développement de services, défense des droits, et financement de la recherche
- 2 - Développement de revenus
- 3 - Communication et gestion du réseau.

En plus de son bureau central à Montréal, Parkinson Québec possède 4 bureaux régionaux (Rive Sud, Hautes et Basses Laurentides, Yamaska) relevant du même CA.

D'autre part, Parkinson Québec entretient des liens avec 8 organismes régionaux affiliés mais possédant leurs propres CAs (Parkinson Abitibi, Bas Saint Laurent, Mauricie, Montréal-Laval, Ville de Québec, Outaouais, Saguenay Lac Saint Jean). Tous les organismes régionaux ont pour mission de fournir localement de l'information sur la maladie et d'organiser des groupes de soutien et d'entraide.

Parkinson Québec ne fonctionne pas sur un système d'adhésion de membres. Tous les québécois atteints par la maladie et leurs familles peuvent utiliser nos ressources, à coût nul.

Parkinson Québec couvre l'ensemble de la province du Québec et propose ses services aux 25 000 personnes atteintes de la maladie de Parkinson (MP) et à leurs familles.

www.parkinsonquebec.ca

2. Information Gathering

CADTH is interested in hearing from a wide range of patients and caregivers in this patient input submission. Describe how you gathered the perspectives: for example, by interviews, focus groups, or survey; personal experience; or a combination of these. Where possible, include **when** the data were gathered; if data were gathered **in Canada** or elsewhere; demographics of the respondents; and **how many** patients, caregivers, and individuals with experience with the drug in review contributed insights. We will use this background to better understand the context of the perspectives shared.

Une étude en ligne a été diffusée aux personnes atteintes et à leurs proches qui utilisent traditionnellement nos services. Cette étude s'est déroulée entre le 18 janvier 2021 et le 1^{er} mars 2021. La promotion de cette étude a été réalisée via notre infolettre et nos réseaux sociaux.

Les critères d'inclusion de cette enquête sont:

- **Personne atteinte de la maladie de Parkinson (MP) ou proche aidant d'une personne atteinte de la MP,**
- **Age supérieur à 18 ans,**
- **La personne atteinte de la MP a de la sialorrhée**
- **Lieu de résidence : Québec**

Un total de 110 proches aidants (PA) et 295 personnes atteintes de la maladie de Parkinson (PAMP) ont répondu au sondage. D'entre eux, 44 PA et 138 PAMP ont rapporté avoir de la sialorrhée, ce qui correspond respectivement à 40% et à 47% de l'échantillon initial.

Les analyses sont présentées pour les répondants ayant un taux de complétion du sondage significatif, soit 82% chez les PA et 84% chez les PAMP ayant de la sialorrhée.

Les analyses sont donc présentées pour 36 PA et 116 PAMP.

Les données démographiques de l'échantillon final sont présentées dans le Tableau 1.

Tableau 1. Données démographiques des répondants ayant de la sialorrhée

	PA (n=36)	PAMP (n=116)
Sexe (proportion), Femme	5 (14%)	44 (39%)
Âge (années), moyenne (ÉT)	71 (9)	66 (8)
Âge au moment du diagnostic (années), Moyenne (ÉT)	61 (10)	60 (8)
Durée de la maladie (années), Moyenne (ÉT)	9 (8)	7 (5)
Score de Hoehn & Yahr, Moyenne (ÉT)	2.6 (1.2)	1.8 (1.0)
Durée de la sialorrhée (proportion)		
Moins de 6 mois	5 (14%)	28 (25%)
6 mois à 1 an	10 (29%)	34 (30%)
1 à 3 ans	11 (32%)	30 (26%)
3 à 5 ans	5 (14%)	14 (12%)
Plus de 5 ans	4 (11%)	8 (7%)
Sévérité (proportion)		
Légère	12 (34%)	54 (47%)
Modérée	15 (43%)	51 (45%)
Sévère	8 (23%)	7 (6%)
Abondante	0 (0%)	2 (2%)
Fréquence (proportion)		
Quelques fois par mois	4 (12%)	11 (10%)
Quelques fois par semaine	14 (40%)	43 (38%)
Quelques fois par jour	12 (34%)	55 (48%)
En permanence	5 (14%)	5 (4%)

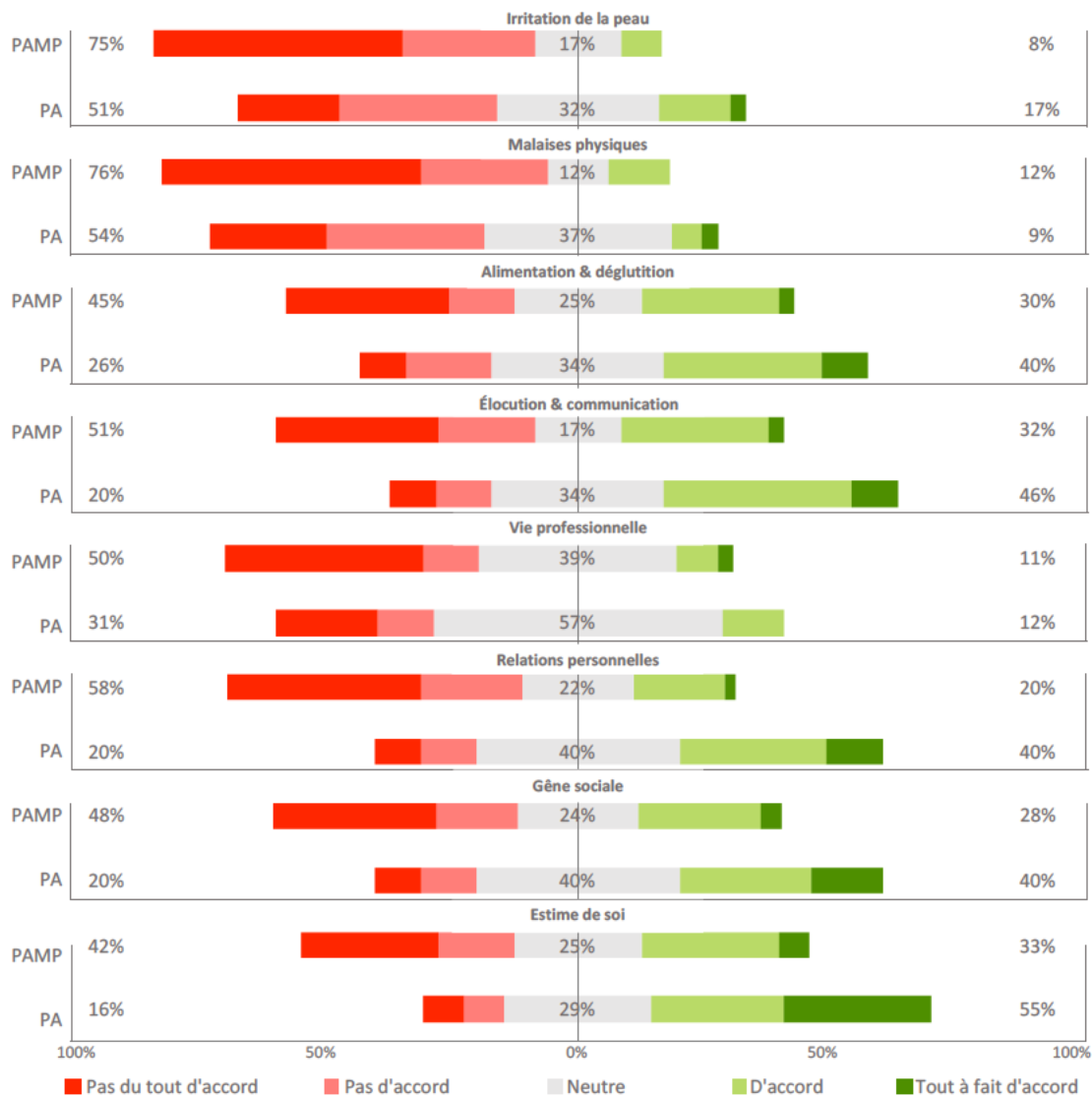
3. Disease Experience

CADTH involves clinical experts in every review to explain disease progression and treatment goals. Here we are interested in understanding the illness from a patient's perspective. Describe how the disease impacts patients' and caregivers' day-to-day life and quality of life. Are there any aspects of the illness that are more important to control than others?

L'impact de la sialorrhée sur la vie des PAMP est présenté dans la Figure 1. Près du tiers des répondants PAMP rapportent un impact de leur sialorrhée sur différents aspects de leur quotidien, incluant leur estime de soi, la gêne sociale, ainsi que sur leur alimentation, déglutition, élocution et communication.

La perspective des proches aidants sur l'impact de la sialorrhée dans la vie des patients est aussi présentée dans la Figure 1. Près de la moitié des répondants PA rapportent que la sialorrhée a un impact sur l'estime de soi, la gêne sociale, les relations personnelles, l'élocution & la communication et l'alimentation et la déglutition de leur proche. À durée de maladie égal, les PAMP jugent que l'impact de la sialorrhée sur les aspects de la vie quotidienne est plus important que les PA.

Figure 1. Impact de la sialorrhée sur différents aspects de la vie des répondants.



4. Experiences With Currently Available Treatments

CADTH examines the clinical benefit and cost-effectiveness of new drugs compared with currently available treatments. We can use this information to evaluate how well the drug under review might address gaps if current therapies fall short for patients and caregivers.

Describe how well patients and caregivers are managing their illnesses with currently available treatments (please specify treatments). Consider benefits seen, and side effects experienced and their management. Also consider any difficulties accessing treatment (cost, travel to clinic, time off work) and receiving treatment (swallowing pills, infusion lines).

Les modalités de gestion actuelles de la sialorrhée sont présentées dans la Figure 2. La méthode la plus commune est certainement l'utilisation d'un mouchoir pour essuyer l'excès de bave (87%). Les autres méthodes sont utilisées par 17% et moins des répondants.

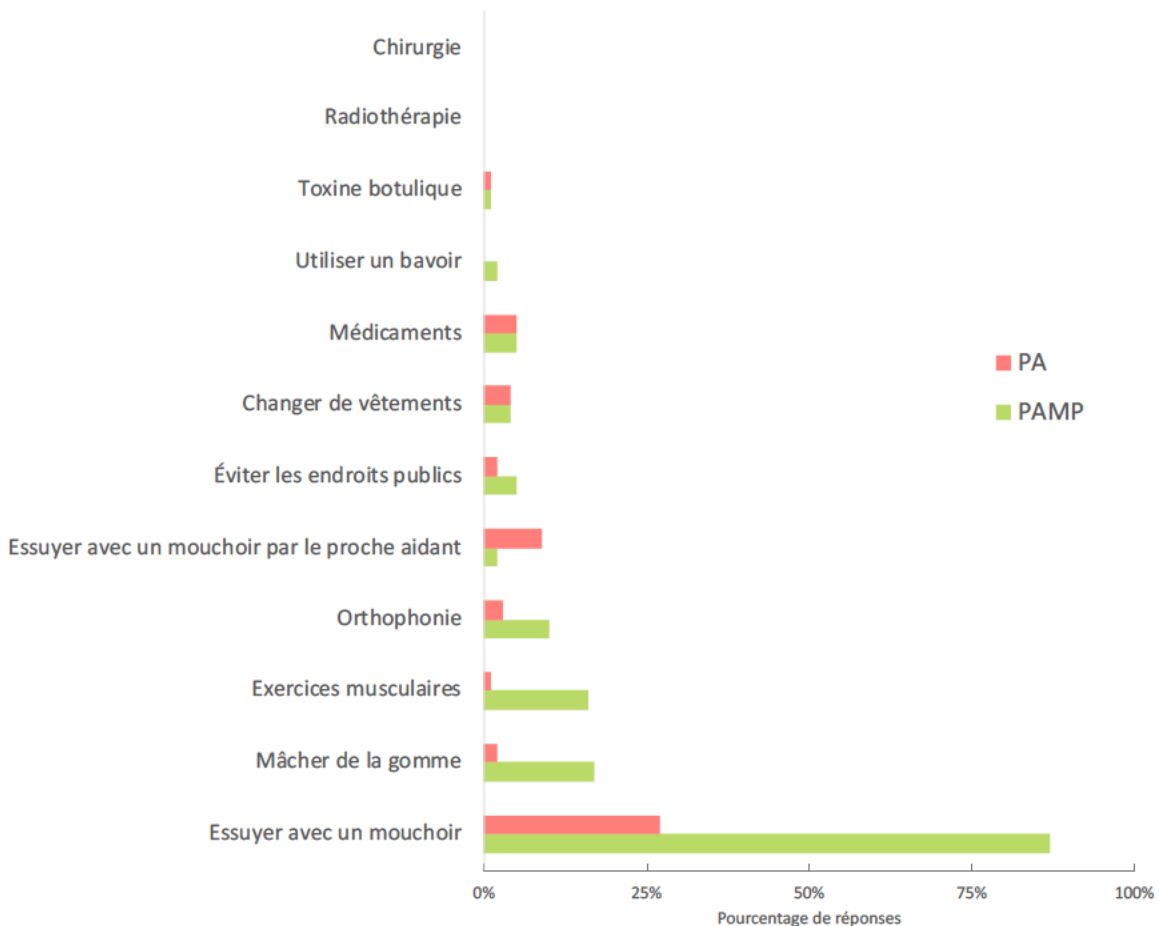


Figure 2. Méthodes de gestion actuelle de la sialorrhée (autant de réponses applicables par répondant)

Les perceptions relatives à l'efficacité des moyens de gestion actuels de la sialorrhée, ainsi qu'à la nécessité d'un nouveau traitement sont présentées dans la Figure 3.

37% des PAMP ne perçoivent pas la gestion de leur sialorrhée comme étant efficace, et plus de la moitié des PA perçoivent l'efficacité et la satisfaction comme étant plus basse. Quant au besoin d'avoir une nouvelle méthode de gestion, approximativement le tiers des PAMP en est favorable, un autre tiers est plutôt neutre, et un dernier tiers ne pense pas que c'est nécessaire. Les PA pensent davantage (43%) qu'un nouvelle méthode de gestion est nécessaire.

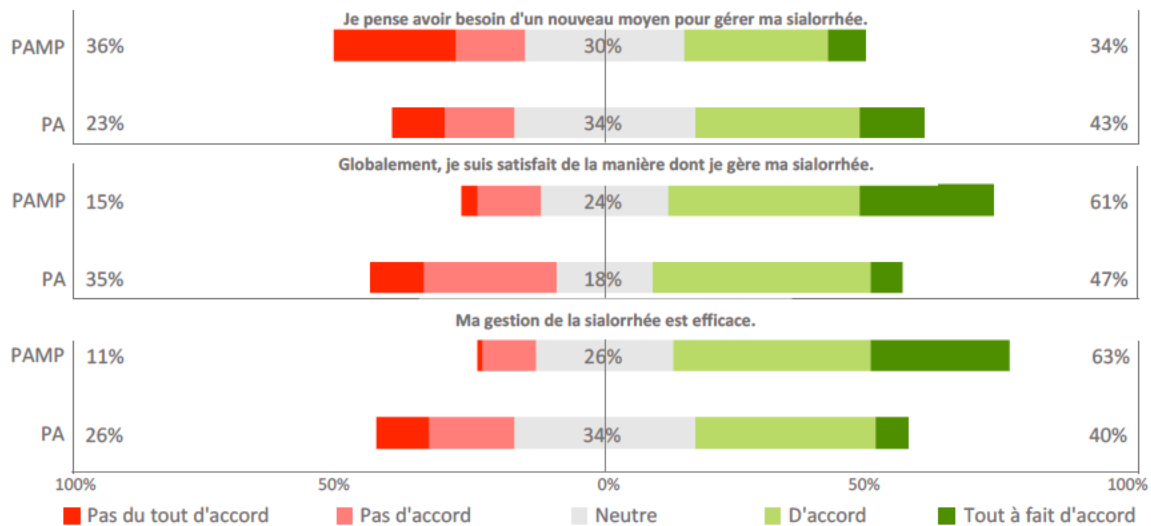


Figure 3. Perception de l'efficacité des stratégies actuelles de gestion de la sialorrhée.

5. Improved Outcomes

CADTH is interested in patients' views on what outcomes we should consider when evaluating new therapies. What improvements would patients and caregivers like to see in a new treatment that is not achieved in currently available treatments? How might daily life and quality of life for patients, caregivers, and families be different if the new treatment provided those desired improvements? What trade-offs do patients, families, and caregivers consider when choosing therapy?

Les caractéristiques désirables d'un futur traitement pour la sialorrhée sont présentées dans la Figure 4. Les deux caractéristiques les plus désirables, autant pour les PAMP que pour les PA, sont le remboursement par le gouvernement (82% et 77%, respectivement), ainsi que des effets secondaires rares et légers (65% et 71%). Une efficacité à réduire la fréquence et la sévérité de la sialorrhée est aussi désirable. Comme dans tous les traitements, la voie orale semble privilégiée par les PA et les PAMP.

La longue durée d'action du nouveau mode de gestion est un attribut désirable pour les PAMP.

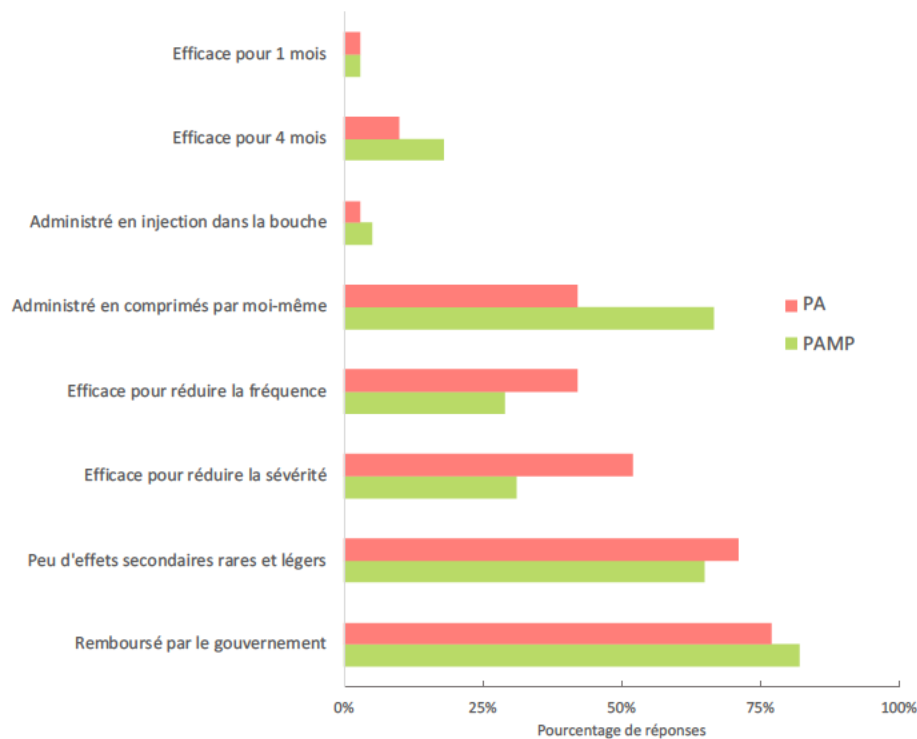


Figure 4. Caractéristiques désirables pour un médicament traitant la sialorrhée (3 réponses préférées par répondant)

6. Experience With Drug Under Review

CADTH will carefully review the relevant scientific literature and clinical studies. We would like to hear from patients about their individual experiences with the new drug. This can help reviewers better understand how the drug under review meets the needs and preferences of patients, caregivers, and families.

How did patients have access to the drug under review (for example, clinical trials, private insurance)? Compared to any previous therapies patients have used, what were the benefits experienced? What were the disadvantages? How did the benefits and disadvantages impact the lives of patients, caregivers, and families? Consider side effects and if they were tolerated or how they were managed. Was the drug easier to use than previous therapies? If so, how? Are there subgroups of patients within this disease state for whom this drug is particularly helpful? In what ways? If applicable, please provide the sequencing of therapies that patients would have used prior to and after in relation to the new drug under review. Please also include a summary statement of the key values that are important to patients and caregivers with respect to the drug under review.

Aucun patient sondé ou interrogé n'a utilisé le Xéomin.

7. Companion Diagnostic Test

If the drug in review has a companion diagnostic, please comment. Companion diagnostics are laboratory tests that provide information essential for the safe and effective use of particular therapeutic drugs. They work by detecting specific biomarkers that predict more favourable responses to certain drugs. In practice, companion diagnostics can identify patients who are likely to benefit or experience harms from particular therapies, or monitor clinical responses to optimally guide treatment adjustments.

What are patient and caregiver experiences with the biomarker testing (companion diagnostic) associated with regarding the drug under review?

Consider:

- Access to testing: for example, proximity to testing facility, availability of appointment.
- Testing: for example, how was the test done? Did testing delay the treatment from beginning? Were there any adverse effects associated with testing?
- Cost of testing: Who paid for testing? If the cost was out of pocket, what was the impact of having to pay? Were there travel costs involved?
- How patients and caregivers feel about testing: for example, understanding why the test happened, coping with anxiety while waiting for the test result, uncertainty about making a decision given the test result.

Le traitement n'a pas de test diagnostic compagnon.

8. Anything Else?

Is there anything else specifically related to this drug review that CADTH reviewers or the expert committee should know?

L'enquête n'a été approuvée par aucun comité d'éthique. Par contre, les répondants ont fourni leur consentement de manière implicite en remplissant le questionnaire en ligne.

L'anonymat des répondants et la confidentialité des données est garantie par Parkinson Québec.

Messages clés :

- 1) **Le présent échantillon présente des PAMP à des stades légers à modérés de la maladie de Parkinson (score Hoehn & Yahr moyen de 1,8), alors que les PA décrivent la maladie de leur proche atteint de la MP comme étant davantage modérée (score Hoehn & Yahr moyen de 2,6). Le mode de recrutement digital de l'étude a également participé au biais de sélection de cette population plus jeune et dont les problèmes associés à la sialorrhée sont moins présents. Cependant, l'étude des cas les plus avancés dans la maladie démontre que la sévérité, la fréquence et l'impact de la sialorrhée sur leur qualité de vie nécessite un nouveau de moyen de gestion de cet important, mais peu reconnu symptôme de la maladie de Parkinson.**
- 2) **La majorité des PAMP (92%) décrivent la sévérité de leur sialorrhée comme étant légère à modérée, c'est-à-dire que la salive mouille tout au plus leurs lèvres et leur menton. Quant à la fréquence de la sialorrhée, 86% des patients rapportent saliver de façon excessive quelques fois par semaine ou quelques fois par jour. Près du tiers des répondants PAMP rapportent un impact de leur sialorrhée sur différents aspects de leur quotidien, incluant leur estime de soi, la gêne sociale, ainsi que sur leur alimentation, déglutition, élocution et communication.**
- 3) **La vaste majorité des PAMP (87%) utilisent un mouchoir comme méthode de gestion actuelle de leur sialorrhée. Toutefois, cette méthode est compensatoire et n'agit pas sur le symptôme en soi. Les méthodes de gestion agissant directement sur la sialorrhée sont très peu utilisées par les patients. 16% font des exercices musculaires, 10% consultent en orthophonie, 5% prennent des médicaments. Seul 1% des PAMP ont reçu de la toxine botulique et aucun n'a eu recours à de la radiothérapie ou de la chirurgie pour leur sialorrhée.**
- 4) **Plus d'un PAMP sur trois ne perçoit pas la gestion de leur sialorrhée comme étant efficace. Près du tiers des patients de cet échantillon de jeunes patients, dont les problèmes associés à la**

sialorrhée sont aujourd'hui moindre, sont tout de même favorable à l'apparition d'une nouvelle méthode de gestion.

- 5) Quant aux PA, ces derniers perçoivent la sévérité, la fréquence et l'impact sur la vie comme étant plus grave que ce que rapportent les répondants patients. Les PA perçoivent aussi la gestion de la sialorrhée de leur aidés comme étant moins efficace et moins satisfaisante que leurs aidés eux-mêmes. De plus, une plus grande proportion rapportent avoir besoin d'un nouveau moyen pour gérer la sialorrhée de leur proche.

- 6) Les deux caractéristiques les plus désirables pour un futur traitement sont : 1) un remboursement par le gouvernement, et 2) peu d'effets secondaires rares et légers. L'efficacité sur la fréquence et la sévérité de la sialorrhée sont aussi souhaitables. La durée d'action à long terme est également un attribut désirable pour une nouvelle approche thérapeutique.

Appendix: Patient Group Conflict of Interest Declaration

To maintain the objectivity and credibility of the CADTH reimbursement review process, all participants in the drug review processes must disclose any real, potential, or perceived conflicts of interest. This Patient Group Conflict of Interest Declaration is required for participation. Declarations made do not negate or preclude the use of the patient group input. CADTH may contact your group with further questions, as needed.

1. Did you receive help from outside your patient group to complete this submission? If yes, please detail the help and who provided it.

No help received

2. Did you receive help from outside your patient group to collect or analyze data used in this submission? If yes, please detail the help and who provided it.

No help received

Merz Pharma n'a été impliqué dans aucune des phases de développement, de conduite et d'analyse de l'enquête.

3. List any companies or organizations that have provided your group with financial payment over the past two years AND who may have direct or indirect interest in the drug under review.

Company	Check Appropriate Dollar Range			
	\$0 to 5,000	\$5,001 to 10,000	\$10,001 to 50,000	In Excess of \$50,000
Merz Pharma 2021 : Développement et la conduite d'une enquête indépendante sur le fardeau et la gestion de la sialorrhée chez les personnes atteintes de la MP et leurs proches aidants.			15,000\$	

I hereby certify that I have the authority to disclose all relevant information with respect to any matter involving this patient group with a company, organization, or entity that may place this patient group in a real, potential, or perceived conflict of interest situation.

Name: Romain Rigal
Position: Director, Programs and Services
Patient Group: Parkinson Québec
Date: 15 mars 2021