



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

Contributions des associations de patients et d'usagers aux évaluations des produits de santé

Analyse descriptive 2017-2018

Ce rapport, comme l'ensemble des publications,
est téléchargeable sur www.has-sante.fr

Haute Autorité de santé – Service communication - information
5 avenue du Stade de France 93218 Saint-Denis-La Plaine CEDEX
Tél. : +33(0)1 55 93 70 00 - Fax : +33(0)1 55 93 74 00

Sommaire

1. Contexte et justification de l'étude	5
2. Questions soulevées	7
3. Objectifs	8
3.1 Objectif 1 : dresser une typologie et décrire les contributions reçues	8
3.2 Objectif 2 : rechercher une prise en compte des avis associatifs dans les documents publiés (contributions associatives, sténotypies des commissions, avis afférents)	8
4. Méthodes	9
4.1 Nature et sélection des documents examinés (objectifs 1 et 2)	9
4.2 Analyses effectuées pour l'objectif 1	9
4.3 Analyses prévues pour l'objectif 2	11
5. Résultats	13
5.1 Nombre d'avis et de contributions	13
5.2 Domaines thérapeutiques des dossiers ayant fait l'objet de contribution	14
5.3 Motifs administratifs de dépôt des dossiers étudiés	16
5.4 Nombre de contributions reçues par avis	16
5.5 Agrément des associations contributrices	17
5.6 Fréquence des contributions par association	17
5.7 Nombre d'adhérents	18
5.8 Budget annuel des associations	18
5.9 Contenus des contributions	19
6. Analyse des transcriptions des commissions	23
6.1 Dénombrement global	23
6.2 Analyse du contenu des échanges sur les contributions selon l'objectif 2	24
7. Mention des contributions d'usagers dans les avis des dossiers étudiés	25
7.1 Avis CT	25
7.2 Avis CNEDiMTS	25
7.3 Avis CEESP	25
8. Discussion	26
8.1 Fréquence des contributions	26
8.2 Nature des associations contributrices	27
8.3 Méthodes utilisées pour répondre	27
8.4 Échanges en commission	27
8.5 Avis	28
9. Conclusion	30
Annexe 1. Questionnaire	31
Annexe 2. Synopsis étude « Analyse des contributions d'usagers 2018 »	36
Annexe 3. Spécification/liste des items à renseigner pour le volet « contributions »	40
Fiche descriptive	43

1. Contexte et justification de l'étude

La HAS a déterminé l'engagement des usagers comme une priorité dans son plan stratégique 2019-2024, en consacrant un axe spécifique développant des actions.

L'argument identifié institutionnellement est le suivant : « Dans un contexte où les droits des usagers se sont continûment renforcés, la HAS a initié de longue date une démarche de participation des usagers à ses travaux. La continuité et la progressivité du travail mené ainsi que la variété des outils mis en place (participation précoce aux notes de cadrage, inscription au programme de travail, structuration de la contribution des associations d'usagers aux commissions réglementées, participation aux groupes de travail, inclusion dans les groupes de relecture, etc.) peuvent être soulignées. Les efforts méritent d'être poursuivis pour favoriser l'importance du point de vue des usagers mais aussi améliorer la lisibilité des actions de l'institution. »

S'agissant des opérations, il importe de préciser ici que l'objectif 2.2 de ce plan est de « Systématiser l'intégration du point de vue des usagers dans l'ensemble des méthodes et travaux de la HAS », décliné dans le sous-objectif 2.2.1. de la manière suivante : »Évaluer les méthodes de participation des usagers/citoyens et leurs apports «.

La participation des usagers aux travaux de la HAS a été progressivement incluse dans les méthodes depuis la création de la HAS, de façon implicite et progressivement explicite. Le chapitre de discussion présenté à la fin de ce document reprendra davantage de points concernant les modes de formalisation sur les implications des usagers. S'agissant plus particulièrement de l'évaluation des technologies de santé en vue de leur remboursement, elle est réalisée par quatre services de la HAS selon qu'il s'agit de médicaments, de dispositifs médicaux, d'actes professionnels, et d'évaluation médico-économique (avis d'efficacité notamment). Les usagers sont membres à part entière des commissions en charge de ces évaluations et, par le truchement de leur représentations associatives, peuvent être impliqués, soit directement en participant à des groupes de travail ou en étant auditionnés, soit en étant interrogés par questionnaires ou encore en tant que relecteurs des travaux de la HAS. Sur le plan pratique, les délais qui s'imposent réglementairement aux commissions pour le traitement des demandes de remboursement pour les médicaments, les dispositifs médicaux et les avis d'efficacité sont très contraints. Permettre une implication plus directe des usagers concernés et la prise en compte de la vision de la maladie par le patient lui-même nécessite une procédure « accélérée ». Cette procédure a été créée fin 2016.

C'est sur ce constat que, pour progresser dans la direction d'une meilleure mise en œuvre de la démocratie sanitaire, la HAS a mis en place fin 2016 un mécanisme transversal de contribution des associations de patients et d'usagers par Internet. La présente étude est une approche descriptive et analytique des résultats apportés par ce processus, dont la description figure dans le prochain paragraphe.

La HAS a instauré une procédure de recueil¹, par appel ouvert sur Internet, des contributions d'associations de patients pour l'évaluation de produits, dont les dossiers sont examinés en procédure d'inscription complète par les commissions réglementées de la HAS : commission de la transparence (CT) pour le médicament, commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDiMTS) pour le dispositif médical, commission évaluation économique et de santé publique (CEESP) pour les avis d'efficacité. Il s'agit d'évaluations approfondies, qui peuvent porter sur un nouveau médicament ou dispositif médical, une nouvelle indication d'un médicament déjà pris en charge ou le réexamen (réévaluation) d'un produit déjà disponible.

Description de l'ouverture systématisée du guichet pour les contributions

Ce système permettant aux associations de patients et d'usagers de contribuer *via* Internet a été mis en place fin 2016 au travers d'une expérimentation de 6 mois, puis de façon pérenne en 2017. Après la période initiale de mise en place, la procédure stabilisée a fonctionné dès le troisième trimestre 2017. Un bilan procédural (sans analyse de contenu) a été effectué et publié sur le site de la HAS².

¹ https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2016-11/contribution_asso_patients_guide_v3.pdf

² https://www.has-sante.fr/jcms/c_2794225/fr/contribution-des-associations-patients-et-usagers-bilan-des-premiers-mois-de-fonctionnement

Cette procédure, validée par le Collège de la HAS³, est restée en place dans sa structure tout au long de l'année 2018. Des améliorations de fonctionnement interne ont été continuellement apportées (automatisation de tâches par informatique, consolidations procédurales et formations des agents concernés, etc.).

Elle concerne tous les médicaments et dispositifs médicaux faisant l'objet d'un examen par procédure d'instruction complète (PIC) en commission réglementée. Certains de ces derniers feront l'objet d'un avis d'efficience.

Au déclenchement de l'instruction du dossier d'un médicament ou d'un dispositif médical par les services de la HAS, le produit en question est « ouvert à la contribution des associations d'usagers » en étant publié sur le site Internet de la HAS⁴⁻⁵. Une date limite de contribution est affichée (délai de 30 jours pour les dispositifs médicaux et de 45 jours pour les médicaments, à partir de la mise en ligne). En plus de cette publication, deux actions d'information proactives sont effectuées : d'une part un tweet sur le fil de la HAS⁶ ; d'autre part un mail d'information groupé vers les associations identifiées comme potentiellement concernées⁷. Les associations intéressées téléchargent le questionnaire standardisé (Annexe 1), le remplissent et l'adressent par mail à une boîte générique dédiée. Le service concerné de la HAS intègre dès lors la contribution au dossier qui sera évalué en commission. Ultérieurement les contributions reçues sont publiées sur le site de la HAS au moment de la publication de l'avis afférent des commissions. Ce processus n'est pas ouvert aux contributions individuelles.

Pour ce processus automatisé, les associations contributrices sont considérées par la HAS comme parties prenantes⁸.

³ Décision n° 2017.0111/DC/DEMESP du 6 septembre 2017 du Collège de la Haute Autorité de santé portant adoption des documents relatifs à la contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

⁴ https://www.has-sante.fr/jcms/c_2666643/fr/contribuer-a-l-evaluation-des-medicaments

⁵ https://www.has-sante.fr/jcms/c_2666644/fr/contribuer-a-l-evaluation-des-dispositifs-medicaux

⁶ @HAS_sante

⁷ La HAS fait usage à cette fin d'une liste d'associations agréées et non agréées qu'elle tient à jour régulièrement (service engagement des usagers).

⁸ Décret n° 2013-413 du 21 mai 2013 portant approbation de la charte de l'expertise sanitaire prévue à l'article L. 1452-2 du Code de la santé publique.

2. Questions soulevées

La procédure repose sur le volontariat des associations d'apporter une contribution sur un produit évalué par l'une des commissions réglementées de la HAS. La nature des contributions peut varier selon les motivations et les moyens des associations. Le statut et l'inclusion de ces contributions d'associations dans l'évaluation d'une technologie de santé appellent à une réflexion à plusieurs niveaux :

- pourquoi et comment les associations élaborent-elles une contribution pour la HAS ?
- quelles formes leurs contributions prennent-elles ?
- les documents écrits publiés permettent-ils de comprendre la façon dont les commissions prennent en compte ces contributions ?

La réponse à ces questions permettra notamment à la HAS d'améliorer sur le fond et sur la forme la participation des associations de patients et d'usagers à l'élaboration de ses évaluations de technologies de santé. Une analyse systématique des contributions reçues nous informe, à partir de certaines caractéristiques, sur les types de savoirs portés par les associations comme contributifs aux délibérations des commissions réglementées.

In fine, cette étude a eu pour ambition de :

- disposer d'une vue d'ensemble structurée sur le contenu des contributions, et dans une certaine mesure sur leur impact ;
- éclairer toute réflexion/action sur cette procédure de contribution et permettre d'autres recherches.

3. Objectifs

L'étude comporte deux objectifs, qui portent respectivement sur l'apport des associations (nature des associations, contenu des contributions) et sur la teneur des débats en commission sur les dossiers concernés.

3.1 Objectif 1 : dresser une typologie et décrire les contributions reçues

Il s'agit de décrire et synthétiser :

- les informations données par les associations sur elles-mêmes dans les questionnaires retournés, en sorte notamment d'observer si les associations répondantes sont agréées ou non, leur « taille », et de chercher à gagner en lucidité sur les points à noter autour de potentielles influences qu'il faudrait connaître dans ces contributions reçues au titre de l'expression de parties prenantes. En somme, chercher à identifier des sujets d'influences potentielles ;
- le contenu des contributions, pour observer les méthodes et propos des associations. En arrière-fond se trouve la recherche de points d'amélioration du questionnaire afin de le rendre plus efficace pour la réflexion de la commission, et pour intensifier et faciliter la reconnaissance des savoirs exprimés par les associations.

3.2 Objectif 2 : rechercher une prise en compte des avis associatifs dans les documents publiés (contributions associatives, sténotypies des commissions, avis afférents)

Il s'agit de :

- décrire la teneur des débats en commission en recherchant où et comment se situent les prises de parole mentionnant les contributions ;
- chercher à expliciter, à la lumière des théories épistémiques mentionnées dans la méthode, comment s'articulent les langages et les effets produits par les apports des contributions *in fine* dans les avis.

4. Méthodes

Attention : dans la suite de tout ce texte, le terme « dossier » signifiera dossier d'instruction par les services de la HAS, comportant les documents remis aux commissionnaires par les services pour la délibération ; « avis » sera utilisé pour l'avis de la commission afférent à un dossier ; « contribution » désignera les contributions envoyées par les associations d'utilisateurs.

Les méthodes ont été élaborées *a priori*, au début de l'année 2019 en collaboration entre la HAS et l'université Paris 5 avec la contribution de Hospinnomics pour la partie épistémique (annexes 2 et 3). Un chargé de projet (doctorant en éthique médicale placé auprès de la HAS) a effectué les parties d'investigation et participé aux discussions sur la méthode.

Les grilles d'analyse élaborées ont été éprouvées par des phases de test sur des échantillons aléatoires de 10 dossiers, à 5 reprises pour l'objectif 1 et à 3 reprises pour l'objectif 2. Les grilles (décrites ci-dessous) une fois finalisées ont été figées et utilisées pour l'investigation systématique.

4.1 Nature et sélection des documents examinés (objectifs 1 et 2)

Le matériel observé (inclusion dans l'étude pour les deux objectifs) portait sur tous les dossiers médicaments et dispositifs, avec ou sans avis d'efficacité, examinés en procédure d'instruction complète en vue de leur remboursement, pour les avis rendus entre le 1^{er} mars 2017 (date de mise en place effective du dispositif de contribution) et le 31 décembre 2018 et pour lesquels au moins une contribution associative avait été reçue. Les documents extraits de façon systématique dans leur version finale électronique des serveurs internes de la HAS étaient les suivants :

- la (ou les) contribution(s) d'associations de patients ou d'utilisateurs reçue(s) ;
- le verbatim de la délibération en séance de commission (transcription) ;
- l'avis définitif de la commission, publié par la HAS.

4.2 Analyses effectuées pour l'objectif 1

Les documents sélectionnés ont été examinés de façon systématique. Trois grilles ont été élaborées et appliquées : une pour les contributions des associations, une pour les transcriptions des délibérations dans les séances des commissions, et une troisième pour les avis définitifs (version publiée) des commissions.

Chaque produit de santé (médicament ou dispositif) a fait l'objet d'un recueil standardisé d'information noté dans le Tableau 1.

Tableau 1. Relevé d'information sur les produits évalués

Détails du produit	Critère choisi
Nom du produit	Identique au dossier de dépôt
Motif de la demande	Catégorie administrative
Indication concernée	Identique au dossier de dépôt
Domaine thérapeutique	Selon analyse HAS
Enfants seulement	Âge < 15 ans
Jeunes et adultes	Âge > 15 ans
Tous âges	Avant et après 15 ans
Maladie rare	Prévalence < 1/2 000 ⁹
Date de l'avis définitif	Commission
Nombre de contributions reçues	Selon le décompte HAS

⁹ <https://solidarites-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/prises-en-charge-specialisees/maladies-rares/article/les-maladies-rares>

Une recherche additionnelle nécessitant l'accès à d'autres informations que celles contenues dans les documents sources a été effectuée. Il s'agit de la recherche par Internet des partenaires financiers des associations contributrices dont le financement annuel par un industriel était supérieur à 30 %. Après identification de ces dernières, les investigateurs ont accédé à leur site Internet et visité la (ou les) page(s) sur la (les)quelle(s) figuraient les partenaires financiers. Partant de ces informations, il a été statué (contribution par contribution) si le laboratoire déposant la demande d'avis figure ou non parmi les partenaires financiers de l'association contributrice. Les investigateurs prenaient note des situations où l'information recherchée sur les sites Internet n'était pas trouvée. Les grilles d'analyse sont présentées sous forme de tableaux ci-dessous. L'investigation n'a pas porté sur les industriels concurrents du fait d'une plus grande complexité des informations à recueillir. En effet, la concurrence industrielle peut être multiple (il convient donc de rechercher préalablement la liste des entités) ; elle peut être de différentes natures du fait d'alternatives thérapeutiques (par exemple la chirurgie peut compléter ou se substituer à un dispositif médical) ou de choix personnels de parcours de soins (par exemple alternatives thérapeutiques en cancérologie). La notion de « concurrence » est donc multiforme. Une telle investigation spécifique pourra faire l'objet de travaux futurs¹⁰.

► Pour l'analyse des contributions

Chacune des contributions afférentes à ces dossiers a fait l'objet d'une analyse et de report de données systématisés. Les informations sur les identités sont reprises dans le Tableau 2 ci-dessous. Les items recueillis concernant la description de la méthode utilisée par les associations (telle que décrite par ces dernières) sont reportés dans le Tableau 3, et ceux relatifs à la substance des messages portés dans le Tableau 4.

Tableau 2. Relevé des informations au sujet des associations

Association	Nom de l'association
Date	Date de réception par la HAS
Agrément de l'association	Source ministère
Nombre d'adhérents	Déclaré dans le questionnaire
Budget global	Déclaré dans le questionnaire
Montant provenant d'entreprises privées	Déclaré dans le questionnaire
Part d'apport du privé dans le budget annuel	Calculée à partir des déclarations
Rédacteur de la contribution identifiable ? (O/N)	Analyse HAS
Qualités déclarées (le cas échéant)	Déclarées dans le questionnaire

Tableau 3. Grille d'analyse des méthodes de travail données par les associations

Analyse des méthodes	
Réunion(s) consacrée(s) à la réponse (O/N) et méthodes le cas échéant	Analyse HAS
Entretiens individuels (O/N) et méthodes le cas échéant	Analyse HAS
Envoi d'un questionnaire dédié à la rédaction de la contribution (O/N) et méthodes le cas échéant	Analyse HAS
Exploitation directe de données issues des réseaux sociaux	Mention ou citation de forums, ou autres plateformes de partage sur Internet
Références documentaires médico-scientifiques ou médico-sociales (type expertise) - hors travaux réalisés par l'association, hors HAS	Citation de publications de nature universitaire
Référence à des études/travaux réalisés par l'association elle-même	Tels que mentionnés dans la réponse
Référence à des travaux HAS	Tels que mentionnés dans la réponse

¹⁰ Indépendamment de cette étude, notons que des liens d'intérêts liés à la concurrence ont pu faire l'objet d'examens au cas par cas au sein de commissions.

Tableau 4. Grille d'analyse du contenu des contributions

Analyse du contenu des contributions	
Présence (O/N) d'informations relatives à la qualité de vie (hors impact psychologique)	Analyse HAS par deux investigateurs
Présence (O/N) d'informations relatives à l'impact psychologique de la maladie sur les patients	Analyse HAS par deux investigateurs
Mention d'un impact financier sur les patients/ familles/aidants (O/N)	Analyse HAS par deux investigateurs
Mention d'un impact physique ou psychologique sur les familles/aidants (O/N)	Analyse HAS par deux investigateurs
Prise de position technique médico-scientifique au regard de positions ou de publications (dans le registre scientifique)	Analyse HAS par deux investigateurs
Expérience directe avec le produit évalué	Analyse HAS par deux investigateurs
Expérience « indirecte » avec le produit évalué	Analyse HAS par deux investigateurs
Attentes exprimées par rapport aux thérapeutiques nouvelles	Analyse HAS par deux investigateurs

► Pour l'analyse des transcriptions

Les délibérations des commissions réglementées de la HAS sont enregistrées et retranscrites mot pour mot. Les transcriptions de chaque délibération sur les produits de la présente étude ont été investiguées systématiquement en notant :

- si la (ou les) contribution(s) faisai(en)t l'objet d'une mention orale ;
- si le cas échéant elle(s) énonçai(en)t ou non le contenu par oral (lecture exhaustive ou synthèse) ;
- le nombre de mots de toutes les phrases se référant à la contribution, rapporté au nombre de mots de toute la délibération sur le dossier en question.

► Pour l'analyse des avis

Pour chaque avis afférent aux dossiers étudiés (avis publiés par la HAS), les investigateurs ont noté s'il était fait ou non mention explicitement de l'existence de contributions d'usagers. Les extraits de textes des avis correspondants ont été colligés pour l'étude.

4.3 Analyses prévues pour l'objectif 2

Deux points étaient prévus s'agissant de l'objectif 2 (portant sur les transcriptions des débats des commissions) :

- un décompte des mentions faites des contributions en séance de commission, avec l'identification des qualités des personnes prenant la parole ;
- une analyse descriptive fondée sur une approche de type argumentatif, visant à caractériser les éléments constitutifs des contributions, leur articulation entre eux et leur intégration dans les délibérations des commissions (articulation avec les éléments d'expertise évoqués dans les verbatims), ainsi que dans les avis. Cette approche est épistémologique, sur la construction d'un savoir commun sur les produits évalués ; elle est neutre quant à savoir ce que serait une « bonne » contribution ou intégration. Elle convoque, en arrière-plan¹¹ :
 - la théorie épistémique de la connaissance selon laquelle les savoirs résultent de l'élaboration inter-subjective de contenus propositionnels à travers un processus de justification,
 - la théorie de l'argumentation qui peut fournir des outils conceptuels permettant d'analyser les discours (contenus écrits, délibérations, avis) à partir des formes d'articulation des arguments qui les constituent (ou « structure logique » des justifications).

¹¹ Voir par exemple les ouvrages de : Bertrand Russell, Edmund Gettier, Robert Brandom, Chaïm Perelman et Lucie Obrechts-Tyteca.

L'articulation interne des arguments à l'intérieur des contributions d'associations est analysée en termes de « présentation » des arguments ; l'articulation externe avec les arguments des commissionnaires est analysée en termes de « liaisons » opérées entre arguments de nature ou de sources différentes.

5. Résultats

5.1 Nombre d'avis et de contributions

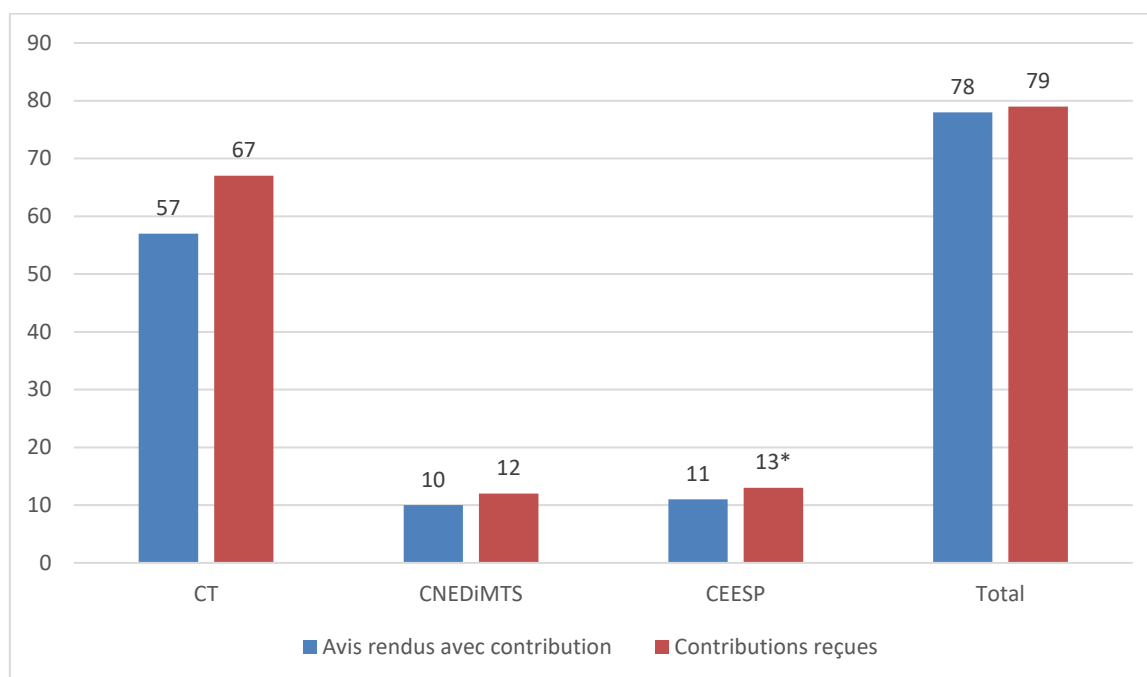
Sur la période du 1/3/2017 au 31/12/2018, le nombre d'avis (PIC) rendus par les commissions réglementées de la HAS (CT, CNEDiMTS, CEESP) est indiqué dans le tableau 5. Pour certains de ces avis il y avait une ou plusieurs contributions (reçue(s) pendant l'instruction du dossier, par le processus décrit en introduction), pour d'autres non.

Tableau 5. Nombre total d'avis rendus en commission en 2017 (à compter du 1^{er} mars) et 2018

Commissions	En 2017 (à compter du 1 ^{er} mars)	En 2018
CT (PIC)	107	176
CNEDiMTS (DM réglementés)	101	171
CEESP (efficience)	16	21

Les dossiers inclus dans cette étude sont ceux pour lesquels au moins une contribution a été reçue, et dont l'avis HAS a été rendu public en 2017 ou 2018.

La CT a reçu 67 contributions entre le 1^{er} mars 2017 et le 31 décembre 2018. Au cours de la même période, 57 avis correspondant à ces contributions ont été rendus publics. Ainsi, 20,1 % (57/283) des avis rendus par la CT selon une procédure d'instruction complète au cours de cette période ont reçu une contribution. L'une de ces contributions portait simultanément sur 2 dossiers et partant sur 2 avis. La CNEDiMTS, quant à elle, pour 10 avis, a reçu 12 contributions. Ainsi, 3,6 % (10/272) de l'ensemble des avis rendus par cette commission au cours de la période ont reçu une contribution. La CEESP pour 11 avis (9 concernaient la composante médicament [CT] et 2 les dispositifs médicaux [CNEDiMTS]) a reçu 13 contributions – ce qui signifie que 29,7 % (11/37) des avis d'efficience examinés au cours de la période ont reçu une contribution. En nombre, il existe donc un rapport de 1 à 6 entre les dossiers inclus pour la CNEDiMTS et la CT. La même observation peut être faite pour la CEESP.



Graphique 1. Nombre d'avis et de contributions inclus dans l'étude.

* Contributions comptabilisées par la CT et la CNEDiMTS

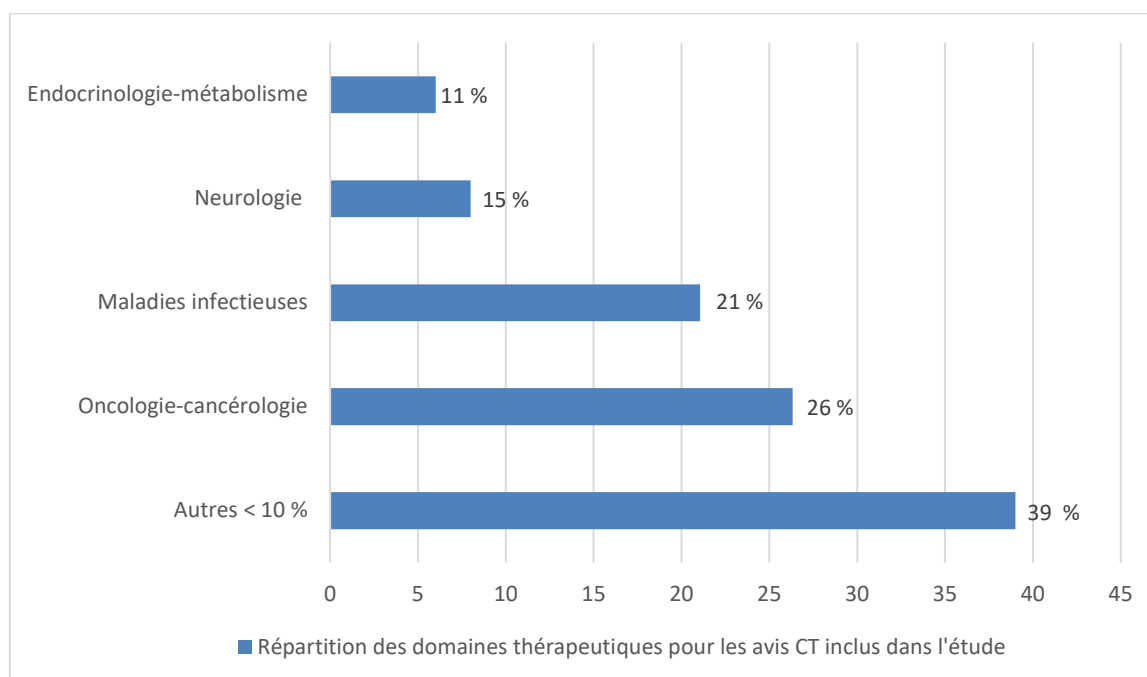
5.2 Domaines thérapeutiques des dossiers ayant fait l'objet de contribution

► Commission de la transparence

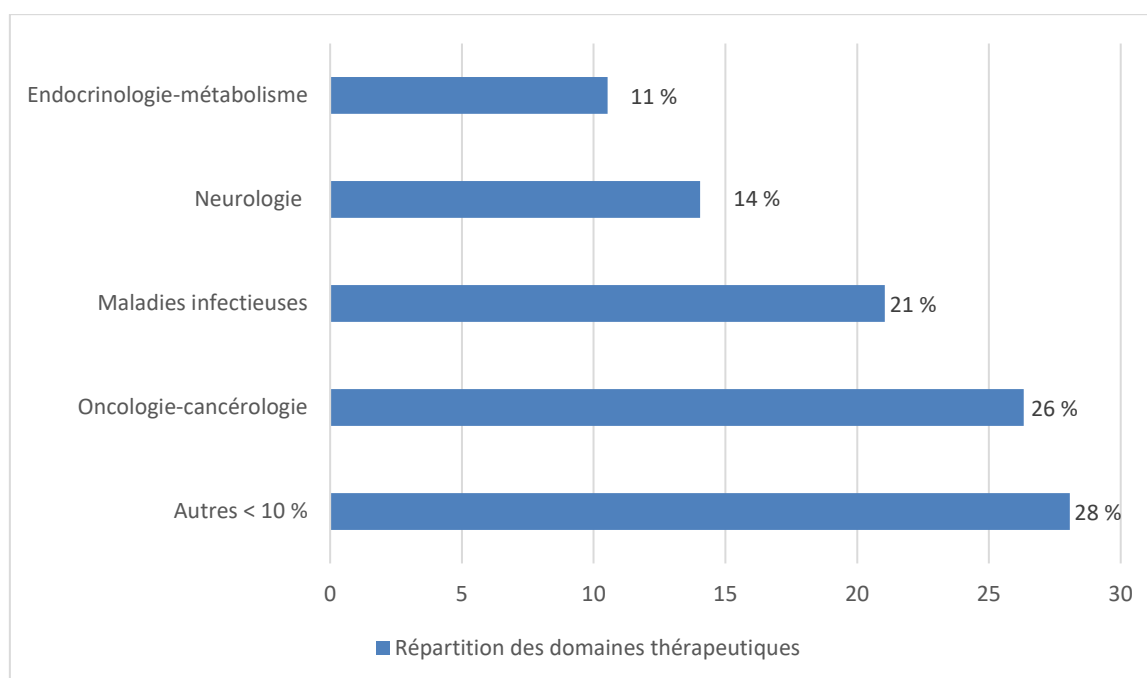
Les domaines principaux des dossiers avec une contribution associative étaient : l'oncologie (15 avis, 26 %), les maladies infectieuses (12 avis, 21 %), la neurologie (8 avis, 15 %) et l'endocrinologie/métabolisme (6 avis, 11 %). Les autres domaines représentent chacun moins de 10 % des autres avis.

Ces éléments sont représentés dans le graphique 2, et s'avèrent analogues à ceux présentés dans le graphique 3 où se trouvent assimilées les données de tous les dossiers de la CT pour la même période.

Notons, par ailleurs, 15 dossiers en pédiatrie (dont 7 concernant une maladie rare).



Graphique 2. Domaines thérapeutiques des indications pour les avis de la CT inclus dans l'étude (PIC avec contributions)



Graphique 3. Domaines thérapeutiques des indications pour tous les avis CT – PIC pendant la période de l'étude

► Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé

Parmi les 10 dossiers de la CNEDiMTS, 2 indications sont doublement représentées : les dispositifs concernant la rhumatologie et ceux concernant la gynécologie. Les domaines sont les suivants :

- neurologie (épilepsie) ;
- gynécologie (stérilisation tubaire) ;
- imagerie médicale (contraste échographique) ;
- rhumatologie (injection intra-articulaire) ;
- ophtalmologie (glaucome) ;
- rhumatologie (injection intra-articulaire) ;
- cardiologie (télésurveillance, rythmologie) ;
- cardiologie (valve) ;
- cancérologie (microsphères pour radiothérapie sélective) ;
- pansements.

► Commission évaluation économique et de santé publique/avis d'efficacité sur médicament ou dispositif médical

Les avis de la CEESP faisant suite aux avis soit de la CT soit de la CNEDiMTS, les domaines thérapeutiques sont liés. La CEESP a évalué 9 médicaments et 2 dispositifs médicaux.

Médicaments :

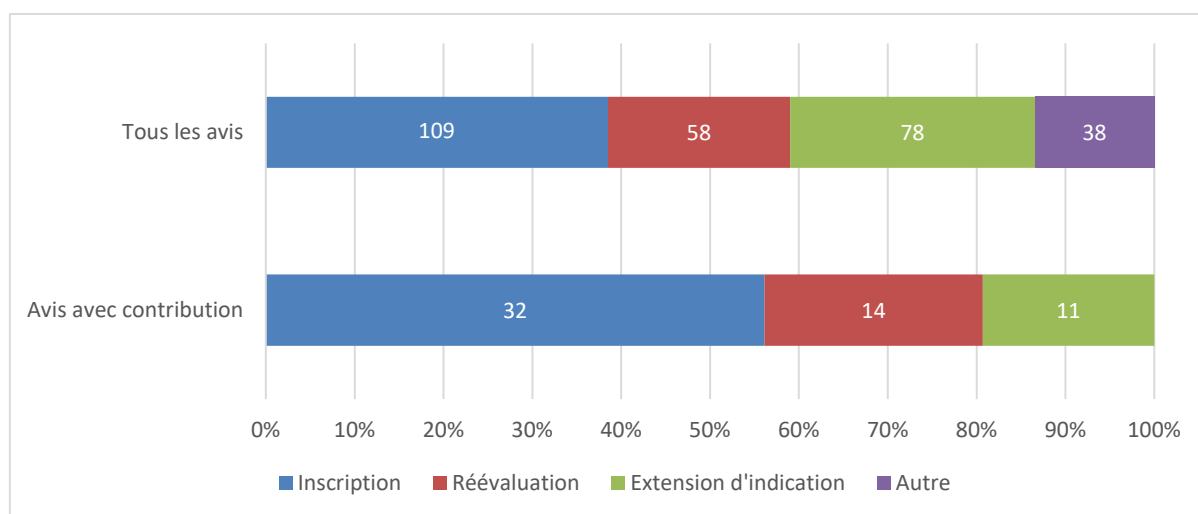
- vaccin (HPV) : 1 ;
- cancérologie (leucémie lymphoïde chronique, myélome [2], tumeurs neuroendocrines, prostate) : 6 ;
- maladie rare (amyotrophie spinale antérieure) : 1 ;
- dermatologie (dermatite atopique) : 1.

Dispositifs médicaux :

- cancérologie (microsphères pour radiothérapie sélective) ;
- pansements.

5.3 Motifs administratifs de dépôt des dossiers étudiés

Les dossiers sont déposés par les industriels à la HAS en vue du remboursement soit en « première inscription » (situation où la HAS n'a jamais statué sur le produit), soit pour d'autres motifs dont les principaux sont la réévaluation (quand par exemple de nouvelles données sont disponibles) et l'extension d'indication. Le motif le plus fréquent de dépôt est l'inscription, tant pour les dossiers avec contribution que pour l'ensemble des dossiers en procédure d'instruction complète. Les répartitions des motifs de dépôt des dossiers examinés par les trois commissions concernées sont présentées dans le graphique 4 (pour la CT, où sont représentées les proportions en %, les chiffres au sein des barres étant les valeurs absolues) et le tableau 6 ci-dessous (pour les autres commissions).



Graphique 4. Motifs administratifs de dépôt (CT-PIC)

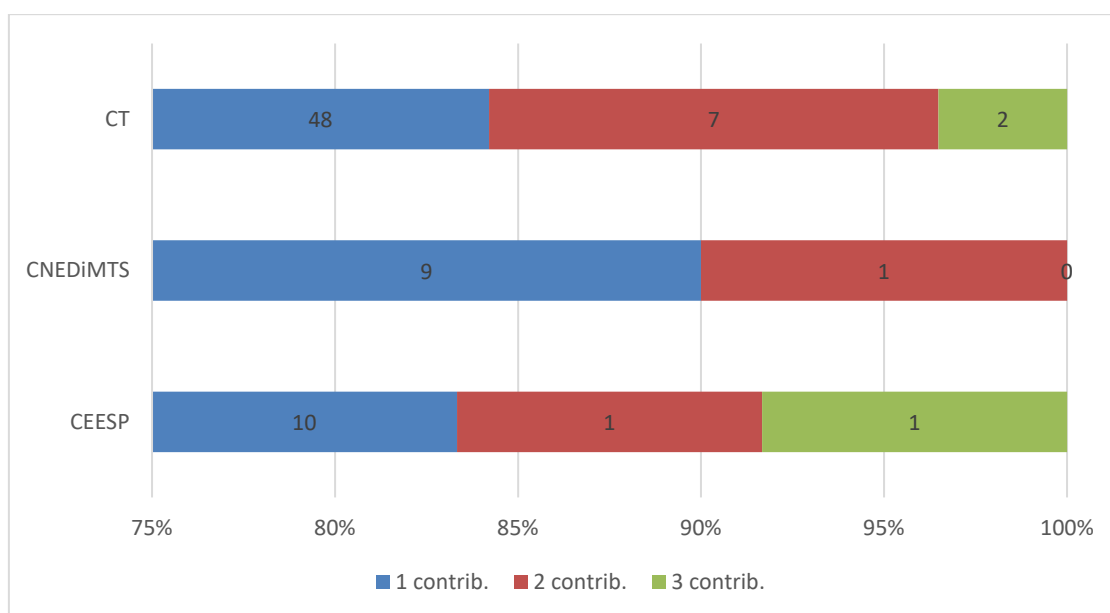
Tableau 6. Motifs administratifs de dépôt des dossiers inclus dans l'étude pour la CNEDiMTS et la CEESP

	CNEDiMTS	CEESP
Inscription	5	6
Réévaluation (SMR et ASMR)	2	0
Extension d'indication	1	5
Autre	2	0

5.4 Nombre de contributions reçues par avis

Pour la commission de la transparence, plus de 80 % des dossiers en vue d'émission d'un avis pour le remboursement avaient reçu une contribution unique. Pour les deux autres commissions également, la plupart des dossiers ont été étudiés avec l'apport d'une seule association.

Les détails de ces chiffres sont exposés dans le graphique 5.



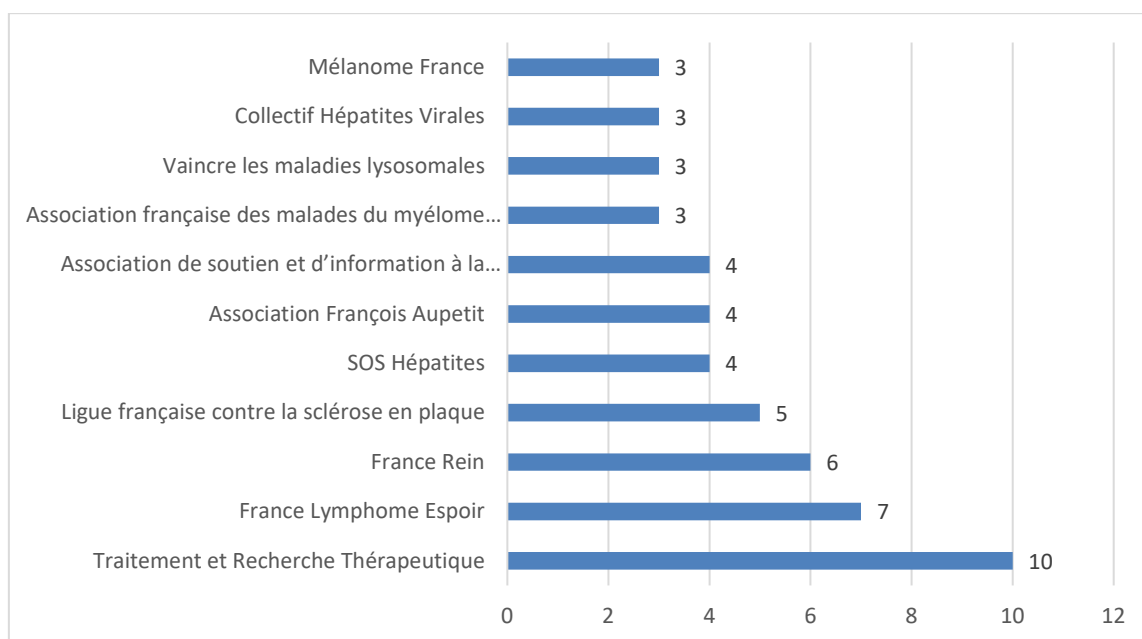
Graphique 5. Nombre de contributions reçues par avis

5.5 Agrément des associations contributrices

Sur la période étudiée 44 associations différentes ont contribué. Parmi elles, 23 (environ la moitié) sont agréées par le ministère de la Santé au moment de leur participation. Les autres entités peuvent, soit ne pas être agréées soit ne pas être une association sur le plan administratif¹² (par exemple : fédérations d'associations, réseaux, etc.).

5.6 Fréquence des contributions par association

Parmi ces 44 associations, 29 ont contribué une fois, 7 deux fois et 8 plus de trois fois (graphique 6). Les associations qui se sont révélées les plus contributrices en fréquence sont citées ci-dessous.

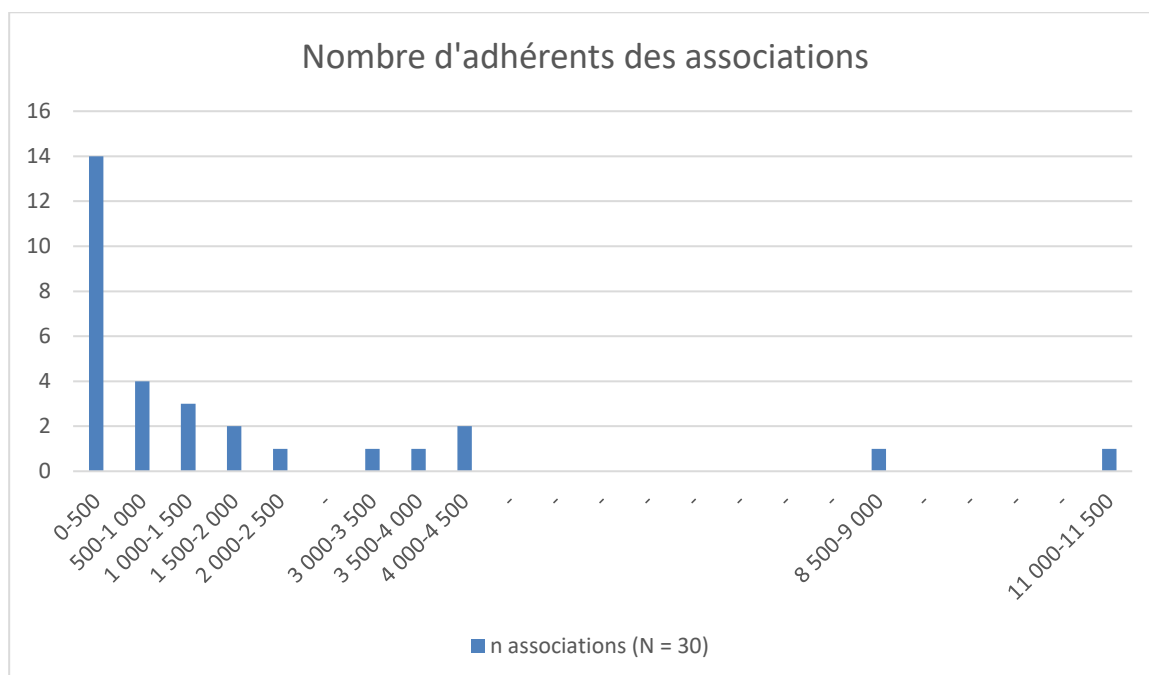


Graphique 6. Associations ayant contribué plus de 3 fois au cours de la période de l'étude

¹² <https://solidarites-sante.gouv.fr/ministere/formulaires/formulaires-sante-10497/article/agrement-des-associations-d-usagers-de-sante>

5.7 Nombre d'adhérents

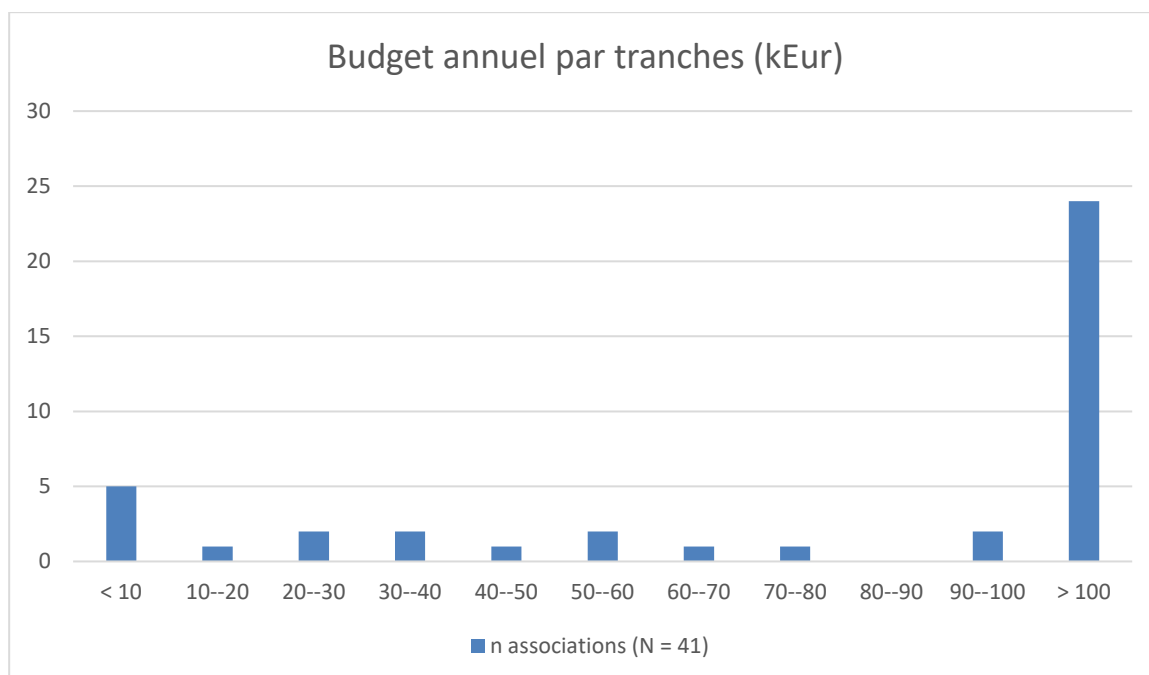
Trente associations sur les 44 ont communiqué leur nombre d'adhérents. On peut noter sur le graphique 7 que 50 % d'entre elles ont moins de 500 adhérents, et que la distribution ensuite occupe principalement l'intervalle des 500 à 2 500 adhérents.



Graphique 7. Distribution des associations contributrices par nombre d'adhérents (0-500 à 11 000-11 500)

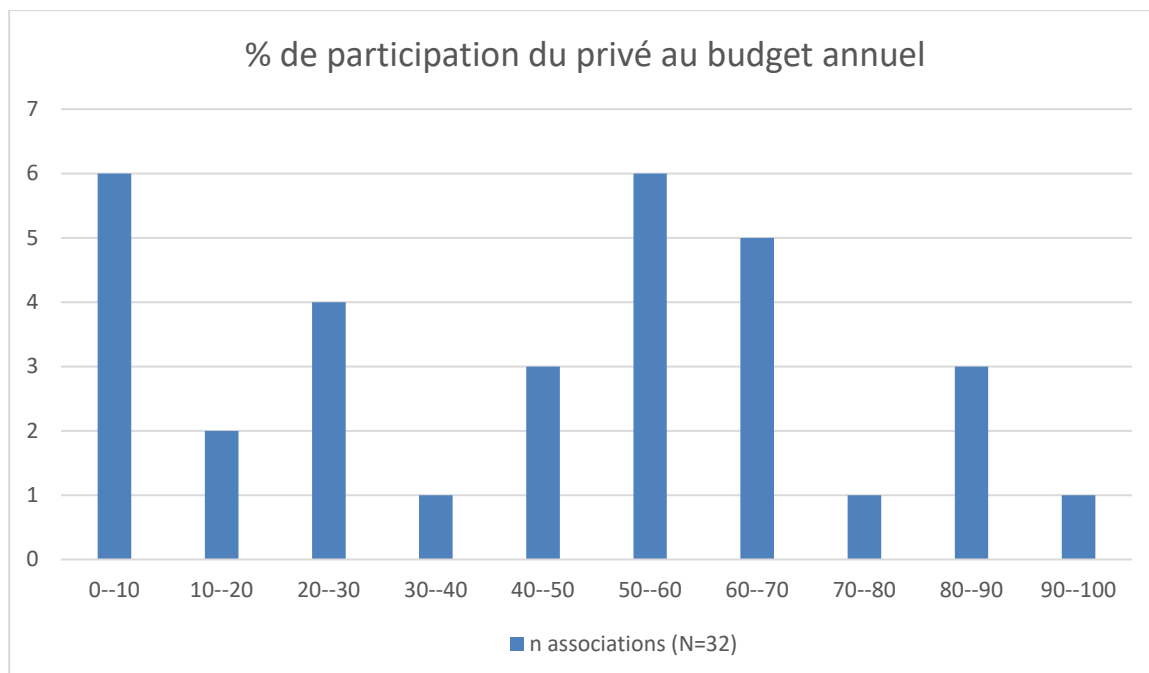
5.8 Budget annuel des associations

Le budget annuel global a été déterminé selon les déclarations faites par les associations elles-mêmes, 3 d'entre elles n'ont pas communiqué cette information. Les fréquences par tranches de budget sont indiquées dans le graphique 8.



Graphique 8. Budget annuel déclaré par les associations (N=41)

Trente deux associations ont indiqué la part de leur financement par des partenaires privés ; 21 d'entre elles (65 %) sont financées à hauteur de plus de 30 % de leur budget annuel par des industriels (graphique 9).



Graphique 9. Distribution du nombre d'associations selon le % de financement annuel par le privé (N = 32)

Une recherche Internet complémentaire a été effectuée pour identifier les associations dont le financement déclaré est assuré par des industries à hauteur de 20 % ou plus (n = 26). Pour 5 d'entre elles, l'industriel déposant le dossier en vue du remboursement à la HAS figurait parmi les financeurs de l'association. Pour des raisons de faisabilité, le montant des financements associatifs par ces industriels n'a pas été recherché pour cette étude.

5.9 Contenus des contributions

► Rédacteurs des contributions

Le contenu de 47 (59 %) sur 79 contributions reçues permet d'identifier nominativement les rédacteurs. Dans la majorité des contributions, trois éléments peuvent être retrouvés : la fonction de la personne (directeur, président, patient expert, responsable de pôle, etc.) ; le temps depuis lequel la personne agit au sein de l'association ; d'autres informations comme une position ou fonction, un titre universitaire, ou une autre qualité. On peut mentionner par exemple : « X, directrice adjointe, responsable des affaires médicales et scientifiques, salariée à XXX depuis 19 ans » ; « X, psychologue, chargée des relations familles à l'association depuis 5 ans et dans le domaine du handicap depuis 15 ans » ou « Patients, proches, et équipes soignantes ».

► Méthodes de rédaction des contributions

Une ou plusieurs méthodes de travail a (ont) pu être utilisée(s) dans 66 (84 %) des contributions (13 d'entre elles ne comportent aucune indication sur la façon dont l'énoncé de la réponse a été conçu). Les méthodes sont précisées de façon très variable. Les méthodes observées pour les 66 contributions étudiées sont : l'usage de questionnaire sans rencontre physique (n = 19), la mise en place de réunions de travail dédiées à l'élaboration de la réponse (n = 3), des entretiens individuels (n = 7). L'utilisation de ressources issues des réseaux sociaux a été mentionnée dans 14 contributions (recherche de données déjà existantes, par

crawling, ou génération de nouvelles données, par exemple en suscitant de nouvelles discussions dans les forums). Les répondants ont utilisé la combinaison de plusieurs approches (questionnaire, réunions, etc.) dans la moitié des cas (n = 34).

Le tableau 7 ci-dessous reprend des exemples sélectionnés par les investigateurs pour illustrer plus avant quelques détails des méthodes adoptées.

Tableau 7. Exemples de méthodes décrites par les associations (extraits)

aux témoignages que nous recevons (téléphone, Internet, réseaux sociaux, réunions...)
le témoignage des patients s'étant rendus à l'étranger pour recevoir ce traitement
nous utilisons également les dossiers, les informations disponibles sur le site de l'EMA, de la FDA, de la CROI, de l'ANSM, de la SFLS, du CNS, de l'ABM, et de la HAS pour avoir des synthèses et des résultats poolés des études
crawling des réseaux sociaux : Facebook et Twitter grâce au procédé de pharmacovigilance mis en place par l'Observatoire...
remontée des forums (...) via une méthodologie développée par un data-scientist (vécu de la maladie sur les 10 dernières années des forums).
un questionnaire publié sur Internet et sur les réseaux sociaux
des entretiens qualitatifs auprès de malades
des remontées de témoignages écrits
un entretien avec le service de cardiologie de l'hôpital (...) afin de valider des éléments -notamment de prévalence, efficacité de traitements, attentes du corps médical...) repris dans certains articles.
étude du dossier de demande d'AMM auprès de l'agence danoise du médicament
sollicitation directe de patients ayant posté un message au sujet du médicament sur le forum
sollicitation de patients/proches que nous connaissons
transmission du questionnaire aux patients ayant répondu à nos sollicitations
sollicitation d'hématologues pour informer de l'enquête des patients ayant été traités avec le médicament dans l'indication. Certains nous ont contactés directement, d'autres sont passés par leur hématologue
transmission d'un modèle adapté du présent questionnaire mais tenant compte des différentes phases
nous avons contacté des associations membres de [l'association] qui réalisaient le même travail pour leurs autorités de santé, en particulier [-], qui a enquêté auprès de patients au Canada et aux USA, et [-]."
appel à témoins sur notre forum de discussion et sur notre page Facebook, groupe Facebook et sur Twitter

► Références

Parmi la totalité des 79 contributions examinées, 38 d'entre elles citent en référence des travaux passés.

Trois catégories ont été créées *a priori* pour les distinguer : les références à des articles de nature scientifique ou médico-sociale, les références à des travaux de la HAS et enfin les références faites aux travaux effectués antérieurement par l'association elle-même (tableau 8).

Tableau 8. Sources mentionnées dans les contributions

Sources bibliographiques	Utilisation de références par les contributions	Exemples
Littérature scientifique	30	Institutions : ANSM/AFSSAPS, ANRS, INSERM, CNSA, agence danoise du médicament... Éditeurs de journaux scientifiques, base médico-scientifique ou revues scientifiques : <i>Wiley Online Library</i> , NCBI, <i>Cochrane</i> , <i>Journal of Hepatology</i> , <i>Journal of medical Virology</i> , etc.
Référence à des travaux publiés sur le site de la HAS	9	Avis de la commission de la transparence Protocole national de diagnostic et de soins
Référence à des travaux ou des données créés par l'association contributrice	19	Enquête de l'AFM-Téléthon Enquête Stop Arthrose Enquête Diabète-Travail Étude BIRD sur le ressenti du fardeau de la maladie sur la qualité de vie

► Informations contenues pour l'évaluation concernant la maladie

Les contributions ont été analysées dans le prisme de la classification établie *a priori*, comme présenté dans le chapitre Méthodes. La répartition et le dénombrement des thèmes sont présentés dans le tableau 9.

Tableau 9. Répartition des thématiques relatives à la maladie

	Nombre de contributions mentionnant les aspects	Pourcentage sur la totalité des contributions
Mention sur la qualité de vie des patients	74	93,7 %
Mention spécifique sur l'impact psychologique pour les patients	54	68,4 %
Mention d'un impact financier de la maladie	26	32,9 %
Mention d'un impact (physique ou psychologique) chez les aidants	58	73,4 %
Attentes par rapport aux thérapeutiques nouvelles	74	93,7 %
Expérience directe des associations avec le produit examiné	48	60,8 %
Expérience indirecte des associations avec le produit examiné	36	45,6 %

► Attentes des patients concernant le médicament/dispositif examiné

Comme indiqué ci-dessus, 74 contributions sur 79 détaillent les attentes des associations/patients concernant le médicament ou le dispositif examiné en commission. Ces attentes sont variées. Elles peuvent recouvrir la diminution des effets secondaires en comparaison avec les produits déjà utilisés. Dans certains cas, l'usage d'un nouveau médicament peut être vu comme essentiel pour éviter une situation à risque. Les associations sont également attentives aux conditions d'administration des nouvelles molécules proposées : à l'hôpital ou à domicile, nombre de prises nécessaires, forme galénique, etc. Le tableau 10 ci-dessous en présente quelques exemples. Comme mentionné plus haut, 26 contributions abordaient les aspects d'impact financier de la maladie, notamment en commentant le coût des médicaments.

Tableau 10. Exemples d'expression d'attentes sur les nouveaux produits

« Une nouvelle thérapeutique efficace de 2 ^{de} ligne : pourrait cibler les caractéristiques (moléculaires), [...], limiter au maximum les toxicités, conduire à une rémission complète et durable. »
« Éviter les situations de surdose pouvant se révéler mortelles ou handicapantes »
« Réduire le délai d'intervention »
« Pouvoir disposer d'un produit utilisable immédiatement en cas d'urgence »
« Un nombre de prises quotidiennes réduit »
« Un médicament de substitution à prendre par voie orale »
« Favoriser l'autonomie du patient (produit utilisable sans la présence d'un professionnel de santé, disponible en ville) »
« Un effet si possible sur les comorbidités associées »
« Reprendre (rapidement) une vie normale »
« Des gélules moins grosses, plus faciles à avaler, surtout s'il faut en prendre quatre »

► Messages « complémentaires » des associations au sein des contributions

Plusieurs associations dans 16 contributions, au sein du questionnaire de la HAS ou en dehors, utilisent la contribution pour formuler des remarques qui ne sont pas directement liées à l'évaluation du médicament ou du dispositif.

Par exemple, une association remercie la HAS pour son initiative : « notre association tient à remercier la Haute Autorité de santé qui permet aux patients et familles de patients de notre association, [...] de pouvoir s'exprimer... ». Une autre association, quant à elle, se plaint que le délai de 1 mois pour produire une contribution est trop court pour réaliser une analyse approfondie. Dans un cas l'association profite de la contribution pour demander une audition auprès de la commission de la transparence afin de pouvoir fournir des témoignages de patients concernés par le médicament examiné. En dernier lieu les associations espèrent que leurs contributions seront utiles à l'évaluation : « Nous espérons que notre contribution aura pu apporter un éclairage facilitant l'évaluation des médicaments. »

6. Analyse des transcriptions des commissions

6.1 Dénombrement global

Les contributions sont systématiquement incluses dans les dossiers examinés par les commissions.

Parmi les 57 dossiers de médicaments concernés par notre étude, l'existence d'une contribution a été mentionnée oralement lors de l'examen par la commission de la transparence pour 52 d'entre eux. Quatre des 5 dossiers pour lesquels l'existence d'une contribution n'a pas été énoncée oralement en séance ont été examinés en 2017. Un autre, prévu en PIC en 2018, avait été enrichi d'une contribution puis a été reclassé en procédure d'instruction simplifiée (la contribution a été incluse dans l'analyse, mais pas la sténotypie).

La fréquence des mentions orales existantes dans les délibérations respectives des trois commissions est rapportée dans le tableau 11 ci-dessous. Leur faible nombre ne permet pas de construire de comparaisons entre les commissions.

Tableau 11. Fréquence des mentions de contributions dans les commissions.

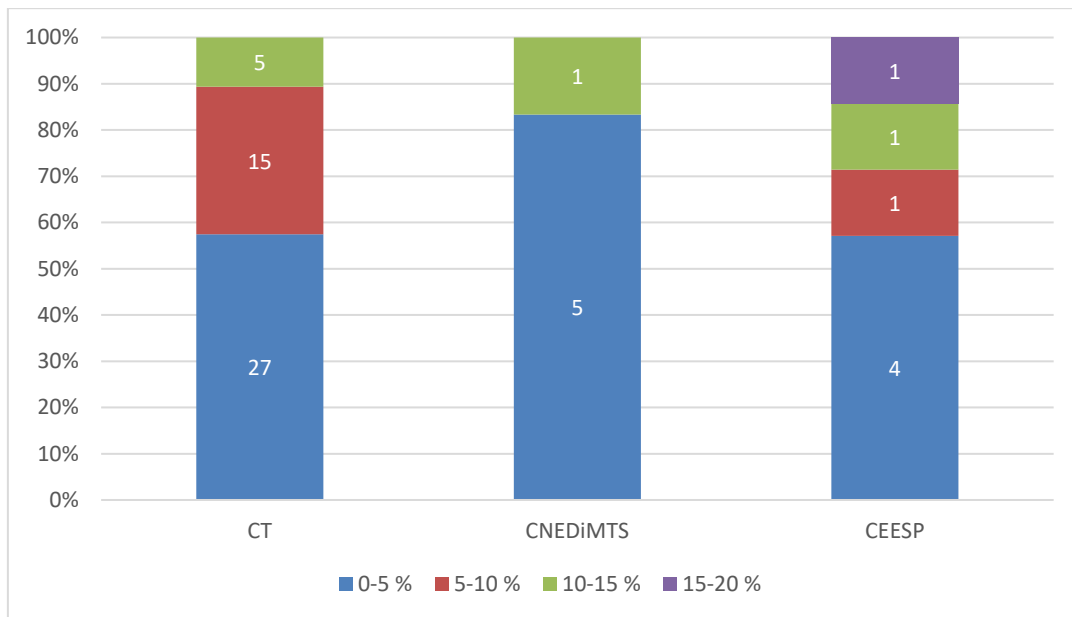
Nombre d'avis délibérés	CT (N = 57)	CNEDiMTS (N = 10)	CEESP (N = 11)
Mention de l'existence d'une contribution uniquement	7 (12 %)	0	1 (1 %)
Mention de l'existence d'une contribution et résumée de celle-ci, sans évocation consécutive	17 (30 %)	1 (10 %)	1 (1 %)
Mention explicite lors de la délibération*	28 (49 %)	7 (70 %)	8 (73 %)
Aucune évocation de la contribution	5 (9 %)	2 (20 %)	1 (1 %)

* Attention, ces chiffres peuvent ne refléter que l'existence d'une courte phrase lors d'un long débat

Le tableau 11 expose, pour en comparer les ordres de grandeur, le nombre de fois où les contributions ont fait l'objet d'une simple indication d'existence, ont été lues ou résumées aux membres, et ont été reprises d'une manière ou d'une autre lors des débats. S'agissant de la CT, 28 dossiers ont fait l'objet d'une reprise dans les débats (soit 49 % des 57 dossiers retenus dans cette étude).

Bien que ce critère ne puisse en lui-même être considéré comme décisif, les investigateurs de cette étude ont calculé, pour une première approche, le rapport du nombre de mots consacrés aux contributions des usagers (mention de l'existence, énoncé du contenu, discussions afférentes) à celui de ceux consacrés à la présentation et à la délibération des dossiers (cf. graphique 10).

On observe que, dans la majorité des délibérations, moins de 5 % de « volume retranscrit » intègre explicitement la contribution. Pour la commission de la transparence par exemple, les volumes de moins de 5 % se concentrent sur 65 % des dossiers. Ce volume est similaire pour ce qui concerne la CNEDiMTS, sauf pour 1 dossier, dont l'analyse qualitative montre qu'il s'agit surtout d'une présentation et appréciation détaillée de l'association par un commissionnaire. Les répartitions sont différentes selon les commissions. Au niveau de la CEESP, le volume consacré à l'apport associatif est plus grand. Cette commission a débattu longuement à plusieurs reprises sur le fond de l'apport des contributions de façon générale.



Graphique 10. Volume des phrases consacrées à la contribution (par rapport au volume de la délibération)

6.2 Analyse du contenu des échanges sur les contributions selon l'objectif 2

L'examen des documents sous l'angle de techniques de présentation des arguments ou de liaison des arguments entre eux, présenté dans le chapitre des méthodes, n'est pas mené du fait de la quantité de matériel transcrit. Des observations auraient pu en ressortir mais il n'aurait pas été possible de distinguer des récurrences informatives d'une méthode de travail des associations ou des commissions, sauf à prendre le risque de généralisations insuffisamment fondées. Cette piste d'analyse offre une perspective intéressante pour un développement ultérieur potentiel.

7. Mention des contributions d'usagers dans les avis des dossiers étudiés

Les avis des trois commissions ne mentionnent pas systématiquement les contributions reçues pour les dossiers durant la période étudiée (mise en place du processus).

7.1 Avis CT

Cinquante-sept avis de la commission de la transparence ont été rendus. Aucun ne fait mention de l'existence d'une contribution d'utilisateur dans le corps du texte ou dans les annexes.

Deux avis mentionnent dans leur bibliographie des études/travaux provenant d'associations de patients. Cependant, ces associations ne sont pas les associations contributrices à l'examen du médicament.

7.2 Avis CNEDiMTS

Dix avis de la commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé ont été rendus. Aucun ne fait mention de l'existence d'une contribution d'utilisateur dans le corps du texte ou dans les annexes.

Il n'est jamais fait référence à des études/travaux d'associations de patients dans les références bibliographiques.

7.3 Avis CEESP

Sur la période donnée, onze avis de la commission évaluation économique et de santé publique ont été rendus. Sur ces avis, 7 sur 11 mentionnent l'existence de la (ou des) contribution(s) mise(s) à disposition de la commission pour l'évaluation du médicament ou du produit de santé.

Sur les 7 mentions des contributions dans les avis, 4 sont informatives et font uniquement mention de l'existence d'une (ou plusieurs) contribution(s) pour le dossier en cours. Par exemple :

« Dans le cadre de ce dossier, la contribution de l'association de patients X portant sur l'évaluation de XX® a été transmise à la HAS. »

Sur les 7 mentions des contributions dans les avis, 3 apportent une information concernant l'existence de la (ou des) contribution(s) tout en apportant une synthèse du contenu de celle(s)-ci. Par exemple :

« Dans le cadre de ce dossier, les contributions des associations X et Y portant sur l'évaluation du XX® ont été transmises à la HAS. »

Les contributions d'associations de patients reçues évoquent les limites d'une approche par type dans cette pathologie et insistent sur l'importance de ne pas restreindre l'accès au traitement sur ce critère. L'importance accordée par les familles des enfants atteints à l'allongement de la durée de vie est également soulignée. »

Il n'est jamais fait référence à des études/travaux d'associations de patients dans les références bibliographiques.

8. Discussion

Cette évaluation a été réalisée de manière rétrospective, sur la base de contributions et d'avis sur les années 2017 et 2018. Cette période de temps permet de donner une vue fidèle des échanges de savoirs à un moment d'instauration du processus de contribution des associations et de leur intégration dans les avis réglementaires produits par la CT, la CNEDiMTS et la CEESP.

Ce choix d'une évaluation précoce et rétrospective entraîne deux limites principales :

- premièrement, les résultats présentés ici ne peuvent être présumés représentatifs des travaux menés par les commissions et de l'apport des contributions d'associations à ces travaux ; ils permettent d'identifier des pistes de réflexion et, peut-être, d'amélioration ;
- deuxièmement, certains objectifs d'analyse, en particulier des techniques de présentation et de liaison des arguments par les associations ou les commissions, n'ont pas été poursuivis dans le courant de l'étude car ils auraient pu mener à des observations anecdotiques dont la valeur de généralité sur les processus et les connaissances en jeu aurait été problématique.

Les éléments de discussion dégagés ci-dessous permettent néanmoins de refléter des perspectives d'évolution qui sont apparues au cours de ce travail, dans les contributions elles-mêmes ou les avis, ainsi que dans les échanges avec les commissions.

8.1 Fréquence des contributions

Le processus a débuté en 2017. Il a fait l'objet d'un bilan de fonctionnement en septembre 2017¹³. Cela a permis l'amélioration et la pérennisation du dispositif et le renforcement et le développement de nouvelles procédures internes à la HAS.

Les contributions pourraient-elles dans l'avenir être plus fréquentes ? Plusieurs paramètres peuvent être discutés. Le premier est celui de la possibilité d'une marge de progrès dans la communication aux associations. Cette information est diffusée de façon non spécifique (page Internet, abonnés aux alertes, tweet systématique sur le fil de la HAS) et de façon spécifique (mails aux associations identifiées). D'importantes améliorations sont en cours sur les bases de données des contacts associatifs et la création de matériaux pédagogiques pour une meilleure information. Deuxièmement, il nous semble cependant certain que la connaissance de base qu'ont les associations d'utilisateurs de la HAS dans ses missions d'évaluation (et *a fortiori* de ce qu'est une évaluation de technologie de santé) est un point fondamental. Il relève pour partie de ce qui peut exister au niveau général dans nos interfaces avec les associations et au niveau particulier des journées de rencontres organisées par la HAS avec les associations. Le développement d'un support explicatif sur l'apport spécifique appartenant en propre aux usagers pourrait s'avérer utile à ces derniers, et les inciter à contribuer plus facilement.

Du point de vue des commissions, il apparaît que le processus basé sur la contribution volontaire d'associations peut entraîner un décalage entre les dossiers pour lesquels une contribution est disponible et les dossiers pour lesquels une contribution aurait été jugée particulièrement utile pour apporter un éclairage des personnes concernées dans l'évaluation. Cet écart est certainement en partie irréductible et peut refléter la nature participative du processus et des contributions recherchées. Il peut cependant nous inciter à une interprétation prudente. Par exemple l'absence de mention d'une contribution dans un avis de commission peut (ou non) provenir du fait de l'appréciation convergente de l'intérêt ou de l'efficacité d'une technologie qui n'appelle pas de commentaire additionnel. Inversement, une contribution peut paraître d'autant plus déterminante que cette appréciation serait discutée ou incertaine sur l'un ou l'autre aspect de la technologie. La présente étude, et le matériel disponible, ne permettent pas de trancher ce type d'hypothèse.

¹³ https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2017-09/bilan_experimentation_contributions.pdf

8.2 Nature des associations contributrices

Les associations contributrices présentent un profil varié, qui ne semble corrélé (intuitivement, au regard du faible volume de l'échantillon pour l'usage de statistiques dans ce contexte) ni à la taille, ni au budget, ni au nombre d'adhérents.

La moitié des associations contributrices dans cette étude ne sont pas agréées (pour mémoire il est précisé dans la procédure adoptée par le Collège de la HAS en 2017 que toutes les associations peuvent contribuer indépendamment de leur agrément ministériel¹⁴).

Le nombre d'adhérents, information demandée dans le questionnaire standard utilisé pendant la période de l'étude, est très variable. Aucune contribution n'a fait l'objet d'un traitement particulier du fait de la « faible taille » d'une association. Il est évident qu'à un plus grand nombre d'adhérents correspond en apparence une plus grande représentativité. Ceci doit toutefois être apprécié au cas par cas, en tenant compte notamment de l'incidence de la maladie (par exemple, pour les maladies très rares ou au contraire très fréquentes dans lesquelles plusieurs sous-populations devraient être considérées).

Un autre élément de discussion peut concerner les sources de financement des associations et les liens d'intérêts. Une réflexion pourrait être menée avec le service de déontologie de la HAS, les commissions et les représentants d'association afin de spécifier les éléments constitutifs ou non d'un lien d'intérêts, eu égard à la nature des contributions d'associations. Si cette nature diffère de celle de l'implication dans un groupe de travail ou dans une commission, la clarification et la prévention de conflits d'intérêts permettront de conserver à la contribution d'associations sa dimension participative et coopérative au processus d'évaluation.

8.3 Méthodes utilisées pour répondre

Deux tendances de méthodes se dessinent lorsque ces dernières sont décrites.

La première est celle du témoignage : des expériences individuelles, uniques ou apposées les unes aux autres présentées entre guillemets, donnent une parole directe et immédiate aux usagers dans le questionnaire même. Dans ce premier cas, la force (ou non) de la contribution réside dans la possibilité (ou non) pour les commissionnaires de tirer parti de témoignages individuels. La seconde tendance est celle visant à énoncer une image de nature générale par synthèse qualitative et/ou quantitative (partant d'une manière ou d'une autre de la « vie réelle » ou de connaissances de type expérientiel). Les données par assimilation, synthèse, et pouvant être manipulées par des instruments statistiques ressemblent aux données de l'*evidence-based medicine* (EBM) et sont sans doute plus abordables par les commissions, ce d'autant plus que, si elles sont nombreuses, elles ont plus de chance d'être représentatives.

Ces deux tendances peuvent coexister au sein d'une même contribution. Il est à noter qu'un objectif à l'instauration de contributions d'associations est d'abonder au processus d'évaluation des éléments de connaissance d'un produit qui n'ont pas pu être apportés par les éléments de preuve déjà détenus par la HAS. Certains éléments narratifs, expérientiels, certains éléments d'attentes, de préférences ou de doutes émanant des patients doivent trouver matière à émerger et à alimenter les délibérations des commissions. Tous éléments de connaissances plus conformes aux méthodologies EBM jugés pertinents par les associations doivent aussi pouvoir être portés à la connaissance des commissions. Pour ces raisons, l'approche ouverte et non normative adoptée à l'initiation du processus de contribution des associations de patients est certainement justifiée ; en tout cas, cette étude n'a pas apporté d'élément de nature à la remettre en cause.

8.4 Échanges en commission

Les contributions d'usagers font l'objet d'une présentation en commission (hormis quelques dossiers qui sont intervenus au moment de la mise en place du processus ou peu après). Dans notre échantillon, une certaine variabilité a été observée dans la manière de présenter les contributions aux commissions (simple mention, résumé, lecture exhaustive, moment précis de la présentation, etc.).

¹⁴ <https://solidarites-sante.gouv.fr/ministere/formulaires/formulaires-sante-10497/article/agrement-des-associations-d-usagers-de-sante>

En 2019, ces procédures se stabilisent au sein des commissions (harmonisation des présentations au sein de la CEESP, par exemple). Une évaluation à distance pourra être envisagée sur des objectifs plus approfondis d'un point de vue argumentatif ou logique qui permettrait d'aller plus loin dans l'analyse des processus de délibération et d'intégration des savoirs des patients aux savoirs techniques des commissions. S'agissant d'une évaluation précoce, dans un temps de mise en place et de stabilisation du processus de contribution, les éléments disponibles ne permettent pas d'aller dans ce sens avec un bon niveau de rigueur et de robustesse. Les variations de méthode et de construction des contributions n'auraient pas permis d'aller beaucoup plus loin dans la compréhension de leur élaboration. En complément, la lecture qualitative montre que les contributions en elles-mêmes n'ont fait que rarement l'objet de débats spécifiques étendus (au-delà de leur présentation) ; ceci n'aurait pas permis non plus d'aller beaucoup plus loin dans la compréhension de leur intégration.

Dès lors qu'il est difficile de comprendre dans quelle mesure deux phrases du type « c'est un aspect souligné par l'association – Ils ont raison » lues dans la transcription correspondent à une inflexion dans la trajectoire décisionnelle de la commission, la question demeure ouverte.

Une étude prospective continue permettrait de dépasser les principales limites rencontrées ici. Une piste pourrait être un questionnaire à remplir par les commissions (leur président ? Les vice-présidents ? Les rapporteurs ?) à l'issue de chaque délibération enrichie d'une contribution. Un tel questionnaire pourrait documenter l'impact d'une contribution dans la délibération. Il pourrait aussi servir de base pour dégager des éléments potentiels à communiquer aux associations.

Évaluation à distance ou questionnaire sont deux pistes, à connotation plus « recherche » ou plus opérationnelle, qui peuvent être discutées et affinées en lien avec les objectifs de la HAS dans sa mission d'intégration des savoirs des patients et avec les objectifs des associations dans leur participation et leur coopération aux travaux de l'institution.

8.5 Avis

La rédaction des avis publiés consécutivement aux séances des commissions fait l'objet d'une procédure stricte au sein des services de la HAS qui ont la charge de les préparer. Dans cette rigueur toutefois, les formes ne sont pas toujours les mêmes. Qui plus est, pour ce qui concerne une procédure nouvelle, il est naturel que des changements s'opèrent. En effet, il s'agit, comme pour les règles de présentation lors des délibérations, d'un élément d'une doctrine qui s'harmonise en prenant en compte le nouvel élément des contributions. La question sur les règles générales et la transparence se pose à ce stade. La HAS souhaiterait-elle les harmoniser pour les trois commissions ? Cela est-il souhaitable vis-à-vis des associations d'usagers ?

À titre d'élément de discussion, il peut être observé que l'objet « contribution d'association » et son intégration dans les travaux de la HAS peuvent occasionner des dynamiques potentiellement contradictoires à plusieurs niveaux :

- au niveau d'une mission transversale de la HAS et de la doctrine propre de chaque commission : chaque commission élabore des méthodes de travail et de rédaction en fonction de la mission technique qui lui est assignée ; une harmonisation pourrait améliorer la visibilité, pour les associations, de l'intégration de leurs contributions, mais interférer avec les équilibres recherchés au sein des trois commissions ;
- entre niveau de preuve et niveau d'information : comme mentionné précédemment, la contribution d'association se trouve à la frontière des méthodes d'évaluation EBM et elle peut être la plus informative là où elle viendrait éclairer des zones où l'expérience des patients peut être impactée, positivement ou négativement, sans que cela soit capturé par les données disponibles. Un enjeu particulier à ce niveau peut être dans la conciliation entre cet enjeu important de reconnaissance de l'apport de la perspective du patient, d'un côté, et, d'un autre côté, son impact sur un avis de commission soumis à des règles d'égalité de traitement entre les dossiers ;
- entre pertinence et information du point de vue exprimé par les patients : dans le processus actuel, la contribution d'association est un élément supplémentaire apporté dans une étape d'accès ou de renouvellement d'accès au marché et d'inscription au remboursement. En l'état, la contribution se fait dans une situation d'asymétrie d'information où le dossier de l'industriel, couvert par le secret, n'est pas accessible à l'association contributrice. Cette asymétrie n'est pas nécessairement préjudiciable au processus, mais une réflexion plus approfondie permettrait d'identifier, avec les acteurs concernés, des modalités éventuelles d'une meilleure information aux associations, ou s'il est des situations dans

lesquelles cette asymétrie est plus à risque d'impacter négativement le processus, notamment la qualité et la pertinence des contributions.

Ces éléments, soulignant des dynamiques potentiellement contradictoires, permettent de replacer les contributions d'associations dans un contexte plus large de missions diverses qui incombent à la HAS. Force est de constater que cette complexité n'a pas empêché les associations de se saisir de ce nouveau mode de contribution et d'alimenter la réflexion des commissions. S'agissant d'équilibres à construire, ceux-ci sont certainement par nature évolutifs, et à discuter comme autant de perspectives d'amélioration.

9. Conclusion

En 2017-2018, au moment de la mise en place de l'ouverture à toute association de la possibilité de contribuer pour les dossiers en « instruction complète » des médicaments et des dispositifs, ainsi qu'à ceux de ces produits examinés pour un avis d'efficience, 25 % des dossiers ont été enrichis par des apports de représentants d'usagers.

Cette première analyse rétrospective de contenu a montré la variété des associations contributrices. Elle encourage la HAS à mieux diffuser l'information et approfondir sa pédagogie concernant l'implication des personnes concernées par l'évaluation des technologies de santé.

Les commissions de la HAS ont intégré d'emblée la lecture des documents transmis par les associations. La lecture des transcriptions des délibérations démontre leur prise en compte car elles s'avèrent mentionnées par oral lors des séances des commissions, sans qu'il soit possible dans un grand nombre de cas – et dans le périmètre de cette étude d'analyser en profondeur l'impact de ces dernières. L'absence de cette possibilité dans le contexte du matériel disponible ne signifie en rien que l'impact n'existe pas. Elle encourage à approfondir ces questions avec les associations et par d'autres travaux. Enfin, il ne faudrait pas laisser penser que la participation des usagers à ce processus d'évaluation ne serait légitime que si elle avait un impact identifié. Cette participation se fonde également sur des principes éthiques, notamment démocratiques.

L'existence d'une contribution associative par ce processus (lorsqu'elle existait) n'était pas systématiquement mentionnée dans les avis (les procédures ont évolué dans le sens d'une mention systématique).

Le Collège de la HAS a pris note de ce travail, et le prendra en considération dans les actions mises en place dans le cadre de l'axe 2 de son projet stratégique 2019-2024 « Faire de l'engagement des usagers une priorité ».

Annexe 1. Questionnaire

Questionnaire de recueil du point de vue des patients et usagers pour l'évaluation d'un médicament¹⁵

Commission de la transparence – Commission évaluation économique et de santé publique

Évaluation de : <Nom du médicament >

Indication(s) du médicament concernée(s) : <Indications sur lesquelles vous avez répondu>

Merci de lire le Guide pour les associations de patients et d'usagers avant de remplir le questionnaire. Une fois le questionnaire complété, nous vous conseillons de supprimer les encadrés d'aide (zones grisées) pour gagner de la place et améliorer la lisibilité.

Nom et adresse de l'association : _____

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour remplir le questionnaire et notamment la nature des informations mobilisées (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, ligne téléphonique, nombre de participants) et les périodes concernées).

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures et quelle est leur nature ?

2. Impact de la maladie/de l'état de santé

2.1 Comment la maladie (ou l'état de santé) pour laquelle (lequel) le médicament est évalué affecte-t-elle(il) la qualité de vie des patients (court terme, long terme) ? Quels aspects posent le plus de difficultés ?

¹⁵ Ce questionnaire est également utilisé pour les contributions aux évaluations des dispositifs médicaux (en remplaçant le mot « médicament »)

Par exemple :

- symptômes les plus importants à contrôler : par exemple difficultés respiratoires ou motrices, douleur, fatigue, incontinence, anxiété
- impact fonctionnel : incapacité/difficulté à effectuer certaines activités
- impact social/relationnel : perte de capacité au travail/à l'école, perte de confiance, difficultés relationnelles, impact sur la santé mentale, impact financier, sur l'évolution professionnelle
- nécessité d'une aide pour la vie quotidienne
- équilibre familial
- relations intimes, troubles sexuels

2.2 Comment la maladie (ou l'état de santé) affecte-t-elle(il) l'entourage (famille, proches, aidants, etc.) ?

Par exemple :

- effets émotionnels/psychologiques, fatigue, stress, dépression, difficultés physiques
- équilibre familial
- Relations intimes, vie sexuelle

3. Expérience avec les thérapeutiques actuelles autres que celles évaluées

3.1 Selon vous, quelles sont actuellement les thérapeutiques les plus adaptées ? Leurs avantages et inconvénients ?

Par thérapeutique, il faut entendre toute forme d'intervention (utilisation d'un médicament, dispositif médical, rééducation, suivi psychologique, prises en charge hospitalières, médecine alternative ou complémentaire, etc.). Si aucune thérapeutique n'est disponible, cela doit être mentionné.

Si l'indication du médicament concerne une phase particulière de la maladie, les enjeux décrits devront en tenir compte.

Par exemple, lister les principales thérapeutiques utilisées et décrire leur impact en termes :

- d'administration/de prise du traitement (fréquence/rythme, traitement à domicile/à l'hôpital, facilité d'accès, actions spécifiques du patient ou de l'entourage), de consultations, d'examens complémentaires (bilan et surveillance biologique, radiologique), de prise en charge associée (kinésithérapie, psychiatrie) ;
- d'efficacité sur le contrôle ou la réduction des aspects les plus difficiles de la maladie ;
- d'effets indésirables en précisant ceux les plus difficiles à tolérer et ceux acceptables ;
- de répercussion sur la vie quotidienne : impact scolaire/professionnel, impact physique, impact financier, impact sur l'entourage. *Préoccupations sur l'usage à long terme de la thérapeutique existante.*

3.2 Quelles sont les principales attentes des patients vis-à-vis d'une nouvelle thérapeutique ?

4. Expériences avec le médicament évalué

4.1 D'après votre expérience du médicament et celle des autres malades, quelles sont les conséquences positives ou négatives de son utilisation ?

Par exemple, en termes :

- de facilité d'usage ou d'observance
- d'efficacité, qualité de vie
- d'effets indésirables
- d'impact financier
- d'impact sur l'entourage
- d'impact sur la vie professionnelle et sociale

4.2 Si vous n'avez pas d'expérience de ce médicament, et que vous avez connaissance de la littérature, de résultats d'essais, ou de communications, quelles sont selon vous les attentes ou les limites ?

5. Information supplémentaire

Communiquer toute information supplémentaire pouvant aider les membres de la commission dans leur évaluation.

6. Synthèse de votre contribution

Listez les points les plus importants de votre contribution. Ils sont susceptibles d'être rappelés oralement lors de la séance de la commission.

Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuelles sont (in)adéquates parce que ...
- Le médicament répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que...
- (...)

Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr.

Volet administratif¹⁶

1. Informations générales sur l'association

Nom de l'association : _____

Adresse postale : _____

Objet social : _____

Principales activités : _____

Décrivez vos adhérents : nombre, autres éléments de description

Type d'association :

- Association de patients agréée au niveau national (année et renouvellement) :
- Association de patients agréée au niveau régional (année et renouvellement) :
- Association de patients non agréée :

Pour les associations non agréées, décrivez la composition des instances (conseil d'administration et bureau) :

Noms des personnes, titres : _____

Personne contact pour les contributions : _____

Fonction : _____

E-mail : _____

Téléphone : _____

2. Informations sur le financement et les autres liens d'intérêts

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine d'un financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, etc.), pour l'année en cours et l'année passée.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

Année	Organisation	Montant	Pourcentage du budget pour l'année concernée

¹⁶ Ce volet n'est pas mis en ligne sur le site de la HAS.

Budget total de l'association pour l'année passée :

Budget total de l'association pour l'année en cours :

Pensez-vous nécessaire de porter à la connaissance de la HAS d'autres liens qui pourraient constituer un conflit d'intérêts ?

Date :

Signature :

Annexe 2. Synopsis étude « Analyse des contributions d’usagers 2018 »



SYNOPSIS ÉTUDE « ANALYSE DES CONTRIBUTIONS D’USAGERS 2018 »

Version 20/12/2018 – Après avis présidents de commissions (CT, CNEDiMTS, CEESP)

Titre complet	Analyse systématique descriptive des contributions directes d’associations de patients et d’usagers aux avis des commissions réglementées de la HAS en procédure d’instruction complète ou en avis d’efficience pour les années 2017 et 2018.
Pilotage et encadrement, promoteur	Haute Autorité de santé
Direction scientifique et investigation	Université Paris 5, unité fonctionnelle éthique médicale
Contexte	L’implication des patients dans les travaux de la Haute Autorité de santé (HAS), est un objectif important de l’institution et correspond à une attente exprimée par les associations de patients dans une perspective de démocratie sanitaire. Cela s’inscrit dans une dynamique plus large, au niveau européen et international, de réflexion sur les modalités de participation des patients aux décisions publiques en santé. L’implication des usagers dans les travaux de la HAS est l’objet d’un axe du plan stratégique institutionnel 2019-2024. La HAS a instauré une procédure de recueil, par appel ouvert sur Internet, des contributions d’associations de patients sur les produits déposés pour évaluation par les commissions réglementées, dont les dossiers sont examinés en procédure d’inscription complète (CT, CNEDiMTS) ou pour un avis d’efficience (CEESP). Cette procédure est opérationnelle depuis début 2017.
Questions soulevées	La procédure repose sur le volontariat des associations d’apporter une contribution sur un produit évalué par l’une des commissions réglementées de la HAS. La nature des contributions peut varier selon les motivations et les moyens des associations. Le statut et l’inclusion de ces contributions d’associations dans l’évaluation d’une technologie de santé appellent à une réflexion à plusieurs niveaux. Pourquoi et comment les associations élaborent-elles une contribution pour la HAS ? Quelles formes différentes leurs contributions prennent-elles ? Existe-t-il une empreinte écrite sur la façon dont les commissions prennent en compte ces contributions ? La réponse à ces questions permettra notamment à la HAS d’améliorer sur le fond et sur la forme la participation des associations de patients et d’usagers à l’élaboration de ses évaluations de technologies de santé.
Hypothèse 1	Une analyse systématique des contributions reçues nous informe, à partir de certaines caractéristiques, sur les types de « savoirs » portés par les associations comme contributifs aux délibérations des commissions réglementées.

Hypothèse 2	L'analyse des articulations entre les arguments internes aux contributions d'associations et ceux énoncés oralement par des membres des commissions révèle différents modes d'intégration de savoirs issus de différents corpus (scientifique, expérientiel, etc.) et positions (expert, représentant, etc.).
Arrière-plan théorique	- Il s'agit d'une recherche descriptive, visant premièrement à analyser les éléments que les associations transmettent à la HAS par le moyen de la procédure mise en place, et deuxièmement comment ces éléments sont intégrés par les commissions réglementées (à travers les verbatims des délibérations). Cette approche est épistémologique ; elle est neutre quant à savoir ce que serait une « bonne » contribution ou intégration. - Elle convoque en arrière-plan la théorie épistémique de la connaissance selon laquelle les « savoirs » résultent de l'élaboration intersubjective de contenus propositionnels à travers un processus de justification (Bertrand Russell, Edmund Gettier, Robert Brandom). - La théorie de l'argumentation fournit les outils conceptuels permettant d'analyser les discours (contenus écrits, délibérations, avis) à partir des formes d'articulation des arguments qui les constituent (ou « structure logique » des justifications). - o L'articulation interne des arguments à l'intérieur des contributions d'associations est analysée en termes de « présentation » des arguments ; - o l'articulation externe avec les arguments des commissionnaires est analysée en termes de « liaisons » opérées entre arguments de nature ou de sources différentes. (Chaïm Perelman et Lucie Obrechts-Tyteca, <i>Traité de l'argumentation.</i>)
Objectif et critère d'évaluation principal	Objectif principal : dresser une typologie et décrire les contributions reçues - Motif de dépôt (première inscription, réévaluation, etc.) et identification des produits ayant fait l'objet d'un avis d'efficience - Pathologies ou domaines thérapeutiques (lorsque plusieurs pathologies sont concernées) - Indications revendiquées (médicaments) - Population cible (caractéristiques, taille) - Nombre de contributions reçues par dossier - Nature et caractéristiques des associations (agréée ou non agréée, budget, nombre d'adhérents, etc.) ; absence d'association de patients ? - Motifs d'éventuelles non-transmissions de contributions aux commissions - Moyens mobilisés et méthode de réponse à la HAS utilisée par les associations (non décrits, témoignages, enquête <i>ad hoc</i>, réunion spécifique, utilisation des réseaux sociaux, résultats de recherche antérieure, etc.) - Nature de la contribution (témoignage, plaidoyer, expertise, etc.) - Identification des rédacteurs de la réponse (dirigeant, membre(s), consultant, etc.) - Présentation des arguments - o Valeurs (ex. équité, démocratie, etc.) - o Faits/données

	▪ sur la population, la maladie et la qualité de vie ▪ sur le produit évalué ▪ sur les comparateurs - o Modalités ▪ descriptif, constat ▪ impératif, revendication ▪ interrogatif, questionnaire ▪ optatif, souhait adressé à la HAS - Sources additionnelles utilisées dans les contributions : articles médico-scientifiques, travaux publiés, etc.
Objectifs et critères d'évaluation secondaires	1. Identifier et décrire les empreintes écrites relatives aux contributions associatives dans les délibérations des commissions (documents publics) : - o La contribution est-elle mentionnée dans le rapport oral présenté par le service ? Une synthèse ou un contenu sont-ils énoncés ? - o La contribution est-elle citée au cours de la délibération des commissions ? - o Par quelles catégories de compétences des membres et dans quel ordre ? - o Modes de référence à la contribution ▪ simple mention (ex. intérêt) ▪ reprise didactique/explicative ▪ accord/désaccord avec certains arguments ▪ articulation avec les arguments soulevés par l'expert • quasi logique (ex. <i>a fortiori</i>, <i>a contrario</i>, etc.) • succession/coexistence (ex. causalité) • exemple/contre-exemple (ex. illustration) • analogie (comparaison) - o Saisie des passages pertinents (verbatim dans le rapport final ou pour une analyse qualitative ultérieure) 2. Identifier les éléments pouvant être mis en relation avec les contributions associatives dans les avis afférents
Schéma expérimental	Analyse quantitative des dossiers et des contributions reçues Analyse descriptive fondée sur une approche de type argumentatif, visant à caractériser les éléments constitutifs des contributions, leur articulation entre eux et leur intégration dans les délibérations des commissions (articulation avec les éléments d'expertise évoqués dans les verbatims), ainsi que dans les avis
Dossiers concernés	Tous les dossiers de médicaments et dispositifs, avec ou sans avis d'efficacité, examinés en procédure d'instruction complète en vue de leur remboursement pour lesquels au moins une contribution d'association a été enregistrée.
Documents sources	- Contributions des associations - Verbatims des délibérations en commission - Avis définitifs des commissions
Période	Dossiers pour lesquels un avis en PIC avec contribution associative a été rendu par la HAS par les commissions concernées en 2017 et 2018.
Actes ajoutés à la recherche	- Points d'étapes avec les présidents et les commissions réglementées - Réunion d'information et d'échange avec les associations [à définir]

Maîtrise des risques	- Utilisation de matériaux écrits publics - Aucun élément communiqué avant anonymisation des données (ex. membres des commissions, produits concernés) - Analyses conduites après anonymisation des données et gel de la base - Pour les produits, une table de correspondance sera conservée afin de permettre un retour vers le dossier pour une analyse qualitative.
Déroulement pratique	- Pilotage par la HAS (réfèrent, suivi et coordination, mise à disposition des données, contributions méthodologiques : Marc Guerrier) - Suivi méthodologique et scientifique : M-F Mamzer et J-C K Dupont, tenant compte des retours de la HAS - Codage réalisé : Cédric Gesbert (chargé de projet HAS) ; une grille de codage pré définie sera fournie sous Excel, avec des options fermées pour chaque variable, dont une option « indéterminée » ; pour les données notées « indéterminées », le codage sera fait par consensus entre CG, MF M et J-C KD - Pour les variables pour lesquelles une liste d'options <i>a priori</i> n'est pas possible, une concertation sera organisée périodiquement pour actualiser/harmoniser la liste d'options, jusqu'à saturation (ex. « valeurs » : justice, équité, autonomie, etc.). - Information et concertation des commissions réglementées, au démarrage de l'étude et à l'interprétation des résultats (et selon les modalités souhaitées par la HAS)
Durée de la recherche	12 mois, avec une première synthèse intermédiaire à 4 mois
Types d'analyses	Analyses quantitatives Statistiques descriptives Analyses qualitatives Analyses de discours

Annexe 3. Spécification/liste des items à renseigner pour le volet « contributions »

Informations relatives au dossier

- ✓ Numéro relatif (propre à l'étude)
- ✓ Code du dossier (propre à la HAS)
- ✓ Nom du produit
- ✓ Motif du dépôt de dossier
- ✓ Avis d'efficience (O/N)
- ✓ Incidence de la pathologie
- ✓ Prévalence de la pathologie
- ✓ Domaine thérapeutique
- ✓ Indication pour l'évaluation
- ✓ Contributions (nombre)

Informations relatives à la population cible

- ✓ Population cible / DOMAINE THÉRAPEUTIQUE

ADD	Addictologie	INF	Infectiologie
ALL	Allergologie	NEP	Néphrologie
ANE	Anesthésie/réa	NEU	Neurologie
CAR	Cardiologie	NUT	Nutrition
DER	Dermatologie	ONC	Oncologie
DIA	Diabétologie	OPH	Ophtalmologie
DOU	Douleur	ORL	ORL
END	Endocrinologie	PNE	Pneumologie
GAS	Gastro-entérologie	PSY	Psychiatrie
GYN	Gynécologie	RAD	Radiologie
HEM	Hématologie	RHU	Rhumatologie
HEP	Hépatologie	TOX	Toxicologie
IMM	Immunologie	URO	Urologie

- ✓ **Pédiatrie = < 18 ans (O/N)**
 - Si oui tranche 0-11 ans
 - Si oui tranche 12-18 ans
- ✓ **Maladie rare (O/N)**

Informations administratives de l'association

- ✓ **Nom de l'(des) association(s)**
- ✓ **Agrément**
- ✓ **Nombre d'adhérents**
- ✓ **Budget total**
- ✓ **Part du budget provenant du privé**
- ✓ **Pour les associations financées > 30 % du budget annuel par un industriel, recherche sur le site Internet de l'association si l'industriel déposant le dossier évalué participe au financement de l'association**

Informations sur le contenu de la contribution

Qui a répondu ?

- ✓ **Identification du(des) rédacteur(s) de la contribution (O/N)**
- ✓ **Précision**
- ✓ **Identification/fonction du(des) contributeur(s) (O /N)**
- ✓ **Précision**

Des actions spécifiques entreprises pour répondre ?

- ✓ **Réunion(s) consacrée(s) à la réponse (O/N)**
- ✓ **Participants**
- ✓ **Détails donnés sur la méthode**
- ✓ **Entretiens individuels avec des personnes concernées (O/N)**
- ✓ **Qui ?**
- ✓ **Détails**
- ✓ **Mise en place d'un questionnaire dédié (tous types, réels ou virtuels) (O/N)**
- ✓ **Personnes concernées par le recueil**
- ✓ **Détails**

Des références à des documents/écrits existent-elles ?

- ✓ **Référence à des documents accessibles publiquement (dont littérature médico-scientifique), hors HAS, hors études réalisées auparavant par l'association elle-même (O/N)**
- ✓ **Référence à des études précédemment réalisées par l'association (O/N)**
- ✓ **Référence à des éléments provenant de forums ou de réseaux sociaux (O/N)**
- ✓ **Détails**

Contenu de la contribution

- ✓ Informations données sur la qualité de vie (hors informations sur les impacts psychologiques) ? (O/N)
- ✓ Lesquelles ?

- ✓ La dimension psychologique de l'impact de la maladie/des traitements est-elle évoquée (O/N)
- ✓ L'impact sur les proches de la personne concernée est-il mentionné ?
- ✓ Un impact financier est-il mentionné ?
- ✓ Des expériences ou des avis sur le produit évalué figurent-elles(ils) dans la contribution ? (O/N)
- ✓ Des souhaits sur les améliorations par rapport à l'existant sont-ils formulés dans la contribution ? (O/N)
- ✓ Remarques ou observations sur le processus de contribution (dans tout le questionnaire)

Fiche descriptive

Intitulé	Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des produits de santé
Méthode de travail	Enquête rétrospective interne HAS
Date de mise en ligne	Mars 2020
Objectif(s)	Evaluer, pour les dossiers des avis ouverts à contribution sur Internet, l'apport des associations (nature des associations, contenu des contributions) et la teneur des débats en commission sur les dossiers concernés (2017-2018)
Professionnel(s) concerné(s)	HAS
Associations concernées	Associations de patients ou d'usagers du système de santé, agréées ou non
Demandeur	Autosaisine HAS
Promoteur	HAS
Pilotage du projet	Marc Guerrier, conseiller médical HAS en collaboration avec l'université Paris 5 et la chaire Hospinnomics.
Auteurs de l'argumentaire	Cédric Gesbert (Chargé de projet HAS) ; Joëlle André-Vert (cheffe de service engagement des usagers, HAS) ; Marc Guerrier (Conseiller médical, service engagement des usagers, HAS) Jean-Claude K Dupont (chaire Hospinnomics) ; Marie-France Mamzer (université Paris 5) ; appui technique : Sorin Stanel (HAS)
Validation	Collège du 4 mars 2020



Toutes les publications de la HAS sont téléchargeables sur
www.has-sante.fr