

FICHE

Accès précoce aux médicaments

Questionnaire de recueil du point de vue des associations de patients et d'usagers du système de santé

8 juillet 2021

- Ce questionnaire est réservé aux associations et aux groupes d'usagers du système de santé. Les associations peuvent être agréées ou non.
- L'objectif de ce questionnaire est de recueillir le point de vue de ces associations et groupes concernant une demande d'autorisation d'accès précoce déposée par un laboratoire pour un médicament dans une indication spécifique. L'information du dépôt de cette dernière figure dans le tableau de la page « [Contribuer à l'évaluation d'un médicament](#) » sur le site de la HAS, ainsi que le motif du dépôt, l'indication précise et la date limite pour répondre.
- Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou appeler le service Engagement des usagers au 01 55 93 70 00.
- Ce questionnaire une fois rempli doit être adressé à la HAS : accesprecoce.medicament@has-sante.fr. Il est transmis aux membres de la Commission de la Transparence dans son intégralité et sera rendu public sur le site de la HAS (la partie « Informations complémentaires et liens d'intérêts » est publiée selon votre autorisation).
- Ce questionnaire est en cours d'expérimentation – Il pourra faire l'objet de modifications après une phase test de 10 dossiers.

1. Identité de l'association ou du groupe d'usagers du système de santé

Nom complet suivi du sigle¹ : ASSOCIATION FRANCAISE DE L'ECZEMA |**Adresse du siège* :** 15 rue du val 35600 REDON |**Nature de la structure* :** Association non agréée |**Nombre d'adhérents de l'association ou de participants au groupe :**

| Groupe de 10 personnes

Audition souhaitée:| ☒ Oui | ☐ Non ;

¹ Les critères suivis d'un astérisque sont à remplir obligatoirement.

2. Médicament et indication en vue de l'accès précoce

Nom commercial* : | ADTRALZA |

Dénomination commune internationale (DCI)* : | TRALOKINUMAB |

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

| Traitement de la dermatite atopique modérée à sévère de l'adulte qui nécessite un traitement systémique, en cas de contre-indication, d'intolérance ou d'échec aux traitements disponibles

→ **Avez-vous un commentaire général à apporter sur la population ou l'indication demandée pour cet accès précoce ? Vous semble-t-elle pertinente ?**

| L'indication nous semble pertinente

3. Impact de la maladie sur la personne concernée et ses proches

Il n'est pas utile de rappeler ce qu'est la maladie.

Décrivez ci-dessous les conséquences essentielles de la maladie sur la qualité de vie des personnes concernées ou de leurs proches et les traitements actuels lorsqu'ils existent.

Vous pouvez répondre partiellement aux rubriques concernées.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?**

- Argument 1 : La | maladie est invalidante car elle provoque des démangeaisons très fortes et fréquentes qui peuvent impacter la vie quotidienne et entraîner des déficits de sommeil
- Argument 2 : La | maladie est invalidante car elle est affichante et peut entraîner stigmatisation et discrimination
- Argument 3 : Les | impacts psychologiques de la maladie ont été mesurés et démontrent qu'elle est un réel fardeau qui entraîne anxiété et dépression chez près de la moitié des patients atteints modérément ou sévèrement

→ **Quel est l'impact de cette maladie sur la qualité de vie des patients ou de leurs proches ?**

| L'impact de la maladie sur la qualité de vie des patients et de leurs proches est majeur d'après les études de qualité de vie menées par l'association et publiées

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

| Fatigue physique et intellectuelle due principalement aux démangeaisons qui impactent le sommeil et la concentration

- **Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur**

Pas d'impact

- **Activités de la vie quotidienne :**

L'impact est très fort sur l'ensemble des activités quotidiennes

- **Mobilité/déplacement :**

Il peut arriver qu'une crise d'eczéma immobilise le patient, notamment quand les pieds sont atteints et que la marche devient impossible

- **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**

La capacité de travail est fortement impactée par les démangeaisons et le manque de sommeil qui diminuent la concentration. D'après les études menées par l'association, la maladie entraîne de l'absentéisme au travail et à l'école

- **Vie affective :**

La maladie impacte fortement la vie affective. L'eczéma atteint la peau, organe fortement impliqué dans la relation. Certains patients, ayant subi de multiples rejets ou moqueries, peuvent renoncer à toute vie affective.

- **Vie sexuelle :**

La vie sexuelle est fortement impactée, avec baisse de la libido pour le patient et/ou pour le conjoint d'après les études menées par l'Association et publiées

- **Vie sociale :**

La maladie peut isoler le patient qui a honte de son aspect physique et peut stopper toute vie sociale. Les démangeaisons elles-mêmes peuvent être un frein à mener une vie sociale épanouie.

- **Autres aspects :**

4. Les traitements actuellement disponibles

L'autorisation pour la demande d'accès précoce prendra en compte l'existence ou non de traitements dûment autorisés et dont les objectifs et effets sont équivalents au médicament proposé en accès précoce (disponibilité ou non d'un traitement approprié).

- **Quels sont les traitements actuels (curatifs ou palliatifs) utilisés par les personnes concernées dans l'indication mentionnée pour ce dossier ?**

Par exemple, autres médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Il convient de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le traitement pour lequel un accès précoce est demandé (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.)

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement, etc...).

Votre réponse :

Les médicaments disponibles dans la même indication (traitement de la dermatite atopique modérée à sévère de l'adulte qui nécessite un traitement systémique, en cas de contre-indication, d'intolérance ou d'échec aux traitements disponibles) sont le Dupilumab (anti-IL4 et anti-IL13) et le Baricitinib (anti-JAK1 et 2). Ces deux traitements ont des effets secondaires pouvant conduire à la nécessité de stopper les administrations (notamment conjonctivites, céphalées, infections des voies respiratoires). D'autre part, certains patients ne sont pas améliorés par ces traitements. L'efficacité du Dupilumab sur le visage n'est par exemple pas satisfaisante pour certains patients.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne sont pas appropriés ?**

- Argument 1 : Les traitements disponibles ne sont pas efficaces pour tout le monde
- Argument 2 : Certains patients doivent stopper les traitements en raison des effets indésirables
- Argument 3 : La dermatite atopique est une maladie chronique qui peut évoluer tout au long de la vie, elle nécessite donc un arsenal thérapeutique le plus large possible pour que chaque patient puisse trouver le ou les traitements efficaces avec le moins d'effets secondaires possible

5. Le médicament étudié en vue d'un remboursement dérogatoire dans le cadre d'une autorisation en accès précoce

Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement (par exemple, au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur), remplir la rubrique « 5.1. L'expérience avec le médicament étudié » et expliquer la méthode avec laquelle vous avez recueilli cette expérience dans la rubrique « 8. Méthodes. »

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, remplir la rubrique « 5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié ».

La Haute Autorité de santé évaluera le caractère innovant, notamment au regard des changements substantiels que cette nouvelle modalité de prise en charge apporte aux patients. Il est important d'identifier ce qui peut constituer du point de vue des personnes un changement substantiel au regard de l'impact de la maladie sur la qualité de vie.

Les catégories suivantes sont proposées à titre indicatif. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients majeurs qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé du patient, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave*
- *la qualité de vie du patient (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives),*
- *la qualité de vie de ses proches,*
- *l'usage de ce traitement,*
- *le parcours de santé et de vie du patient*
- *autres.*

5.1 L'expérience avec le médicament étudié

Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement

Ne remplir cette partie que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles sont les 3 améliorations majeures qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

- Amélioration majeure 1 :

Diminution du prurit

- Amélioration majeure 2 :

Amélioration de l'aspect de la peau

- Amélioration majeure 3:

Diminution de la douleur

- Autres améliorations :

Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Ne remplir que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quels sont les 3 principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié identifiés par les patients, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

- Inconvénient principal 1 :

Deux injections par prise

- Inconvénient principal 2 :

Utilisation de seringues qui rend l'auto-injection plus difficile qu'avec un stylo

- Inconvénient principal 3 :

- Autres inconvénients :

5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié

Vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients ayant utilisé le médicament étudié, mais souhaitez donner votre point de vue sur ce médicament.

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quelles seraient les 3 améliorations majeures qui vous permettraient de dire que le médicament étudié vous semblerait **innovant** par rapport aux traitements actuels ?

- Attente majeure 1 :

Diminution ou disparition du prurit

- Attente majeure 2 :

Diminution ou arrêt des applications de dermo-corticoïdes

- Attente majeure 3:

Moins d'effets secondaires

- Autres attentes :

5.2.2. Vos craintes concernant le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quelles sont les principales craintes que soulignent les patients concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

- Crainte principale 1 :

Effets secondaires de type conjonctivites

- Crainte principale 2 :

- Crainte principale 3 :

- Autres craintes :

6. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé

La HAS peut **décider** de transmettre le projet de Protocole d'utilisation thérapeutique (**sous engagement de confidentialité**) – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations **ou groupes d'usagers du système de santé**. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

→ Quels sont les 3 types d'informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement ?

- Type d'information 1 : La durée d'efficacité du traitement entre 2 injections
- Type d'information 2 : L'utilisation de tubes de dermocorticoïdes ou non
- Type d'information 3 : Intensité et durée du prurit

→ Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs²) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?

- ☐ Non
- ☒ Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?

DLQI (Dermatology Life Quality Index) : cet indicateur permet d'évaluer si le traitement a un effet sur l'amélioration de la qualité de vie, qui est ce qui est recherché en priorité par les patients touchés par la dermatite atopique, qui n'impacte pas l'espérance de vie mais altère profondément la qualité de vie sur des périodes très longues, voire tout au long de la vie

→ Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

Recueil au domicile

→ Avez-vous un avis sur les mesures de gestion des risques qui vous semblent nécessaires et acceptables à prendre pour les patients qui recevront ce médicament ?

non

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

La HAS peut décider de transmettre le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'usagers. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de bien vouloir renseigner la rubrique suivante.

→ Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

non

² Les PROMs : *Patient reported outcomes measures* sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple analyse du projet de protocole d'utilisation thérapeutique-recueil de données, enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, ligne téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

- **Selon quelle méthode avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles (§4) ?**

Emailing, réseaux sociaux, groupes de discussion lors d'événements organisés par l'Association

- **Selon quelle méthode avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement (§5.1) ? Le recueil a-t-il été réalisé par l'association, par le laboratoire ou par les deux ?**

Par l'Association

- **Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**

- ☒ Oui
- ☐ Non

- **Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?**

Patients, Pharmacien et Dermatologues

- **L'association a-t-elle reçu des aides extérieures pour soutenir sa contribution ? Si oui, lesquelles ?**

Non

9. Synthèse

Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

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

Votre réponse :

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont : le prurit qui peut impacter très significativement la qualité de vie sur tous les plans, le caractère affichant de la maladie qui a des conséquences durables sur la

vie affective et sociale, et son caractère chronique avec évolutions par poussées qui rendent la vie des malades stressante et peut mener à des dépressions. Les thérapeutiques actuelles ne conviennent pas à tous les patients : certains ne répondent pas aux traitements actuels, ou n'y répondent que partiellement. D'autre part, un nombre significatif de patients doivent arrêter les traitements actuels du fait d'effets secondaires trop importants (en particulier les conjonctivites). Il est donc important pour les patients de disposer d'un arsenal thérapeutique le plus large possible pour y trouver le médicament qui sera efficace avec le moins d'effets secondaires possible, d'autant plus qu'il s'agit d'une maladie qui évoluera tout au long de la vie dans de nombreux cas. C'est la raison pour laquelle nous attendons avec impatience l'arrivée de ce nouveau médicament qui pourra sortir de nombreux patients d'une impasse thérapeutique.

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts

10.1 Complément d'information sur votre association ou groupe d'utilisateurs³

→ Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

Créée en 2011, l'Association Française de l'Eczéma (loi 1901), association indépendante de patients, rassemble et accompagne les personnes atteintes de toutes les formes d'eczéma (eczéma atopique, eczéma chronique des mains, eczéma de contact) ainsi que leur famille, pour contribuer à améliorer leur qualité de vie. En collaboration avec les professionnels de santé, l'association a pour missions : d'informer sur la maladie, de soutenir la recherche, de participer à l'éducation thérapeutique, de lutter contre l'isolement et de défendre les droits des malades. Parmi ses actions, l'association organise chaque année, une Journée Nationale de l'Eczéma, publie un magazine quadrimestriel « Eczéma Magazine » et des hors-séries thématiques, organise des (web)conférences, des rencontres, et met à disposition des fiches pratiques pour informer sur la maladie et fournir des conseils avisés. Depuis sa création, l'association a réussi à créer une véritable « communauté de l'eczéma » très solidaire et active sur les réseaux sociaux (Facebook, Twitter, Instagram...), une communauté qui se mobilise en permanence pour accompagner au plus près les patients et les familles. associationeczema.fr

³ Les données personnelles collectées dans le cadre de ce questionnaire (nom, prénom, adresse e-mail, n° de téléphone professionnel, fonction) servent uniquement à la gestion de votre contribution et ne sont transmises qu'à la HAS.

Elles seront conservées pendant 10 ans.

Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par courriel à l'adresse suivante : dpo@has-sante.fr.