

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 sigle*¹ : Renaloo

Adresse du siège* : C/O Le Gymnase, 29 bis rue Buffon – 75005 PARIS

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national

Nombre d'adhérents de l'association ou de participants au groupe :

Audition souhaitée:

☒ Oui ☐ Non ;

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

Raison : Rapporter l'expérience des patients depuis l'autorisation d'accès précoce au Ronapreve.

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

Nom commercial* : AZD7442

Dénomination commune internationale (DCI)* : tixagevimab - cilgavimab

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Prophylaxie pré-exposition du Covid19 pour les patients profondément immunodéprimés

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

L'accès précoce est indispensable et urgent, dans le contexte d'une cinquième vague débutante / variant delta

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 : 15 à 20% de mortalité Covid19 chez les patients dialysés et transplantés rénaux
- Argument 2 : Risques très élevés de forme grave, incluant hospitalisation / réanimation / séquelles. Risques de Covid long, chez des patients déjà très fragilisés par leur maladie et ses complications + leurs comorbidités fréquentes

Depuis début août 2021, date à partir de laquelle l'accès précoce au Ronapreve a été possible, plus de 500 patients transplantés rénaux ont été contaminés et plus d'une centaine d'entre eux sont décédés du Covid19 (données Agence de la biomédecine).

Argument 3 : La fréquence de l'infection à SRAS-Cov2 se situe à environ 8% des patients transplantés rénaux et 17% des patients dialysés sur l'ensemble du territoire.
- Argument 3 :

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

Maintien d'un isolement total et de la rupture de tout lien social, depuis le début de l'épidémie, en raison du défaut d'efficacité vaccinale. Conséquences psychologiques, familiales, professionnelles, etc. + préjudice

d'anxiété. Préjudice d'anxiété majeur, y compris pour les proches qui craignent d'être à l'origine d'une contamination.

- **Fatigue intellectuelle ou physique :**

n/a

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

n/a

- **Activités de la vie quotidienne :**

Très restreintes du fait de l'isolement total.

- **Mobilité/déplacement :**

Impossibilité de recours aux transports en commun.

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

Éloignement du lieu de travail depuis mars 2020. Télétravail s'il est possible, à défaut dispositifs de chômage partiel. Nombreuses difficultés professionnelles liées à la prolongation de cette situation.

- **Vie affective :**

Éloignement des proches non vaccinés. Port du masque à domicile en présence des proches. Difficultés majeures pour les parents d'enfants de moins de 12 ans, actuellement non vaccinés.

- **Vie sexuelle :**

idem

- **Vie sociale :**

Impossibilité d'accès aux lieux collectifs, aux loisirs, à la culture, aux sports collectifs, aux vacances / voyages, etc.

- **Autres aspects :**

Difficultés psychologiques liées à tout ce qui précède.

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 :

Selon les différentes études publiées, à l'issue de trois doses de vaccin anti-Covid, 3 doses : 30% environ des patients restent non répondeurs. Les trois quarts d'entre eux environ auraient une réponse insuffisante ou absente et seraient donc mal ou pas du tout protégés.

Les patients transplantés rénaux totalement vaccinés (2 doses) auraient un risque multiplié par 82 d'être contaminés et un risque multiplié par 485 d'être hospitalisés ou de mourir du Covid par rapport à la population générale (Qin, Caroline X. et al - Risk of Breakthrough SARS-CoV-2 Infections in Adult Transplant Recipients, Transplantation: July 23, 2021 - Volume - Issue doi: 10.1097/TP.0000000000003907)

Ronapreve est disponible en accès précoce en prophylaxie primaire depuis le 4 août 2021, mais reste très largement inaccessible. Seulement 3.200 doses auraient été utilisées pour environ 60.000 patients concernés ; de nombreux patients se heurtent à des refus lorsqu'ils demandent à accéder au traitement ; 37.000 doses seraient stockées dans les hôpitaux et non utilisées.

Les principaux freins identifiés sont la lourdeur et la fréquence mensuelle d'administration, le défaut de ressources des équipes concernées, la non-réalisation des sérologies post-vaccinale permettant d'identifier les non-répondeurs, l'impossibilité d'une partie des équipes de contacter leurs patients (pas de coordonnées collectées), le manque d'adhésion d'une partie des professionnels notamment en raison de « l'absence de données » d'efficacité, la conviction que l'auto-confinement des patients est un moyen nécessaire et suffisant de protection, le défaut de prise en compte de la réalité du risque encouru par ces patients.

L'accès aux anticorps monoclonaux en thérapeutique du Covid19 semble également rester très limité.

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

- Argument 1 : Persistance des formes graves et des décès.
- Argument 2 : Persistance des contaminations et risque qu'elles augmentent avec la pression épidémique et le relâchement global observé des gestes barrières.

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 :

Demi-vie entre 6 et 12 mois donc fréquence d'administration très inférieure à celle du Ronapreve, ce qui constitue une amélioration majeure pour les patients.

- Amélioration majeure 2 :

La possibilité d'une administration à domicile dans des conditions simples dès l'initiation du traitement serait un progrès considérable pour favoriser l'accès à ce médicament.

- Amélioration majeure 3:

L'élargissement des indications de la prophylaxie pré-exposition aux patients faiblement répondeurs, qui de façon concrète vivent les mêmes contraintes au quotidien que les non-répondeurs, constituerait une avancée majeure.

- Autres améliorations :

Données de phase 3 en prophylaxie primaire disponibles, ce qui est susceptible de limiter les réticences médicales.

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 :

- Inconvénient principal 2 :

- 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 :

Diminuer la mortalité, les formes graves, les séquelles pour les patients non répondeurs et faiblement répondeurs à la vaccination

- Attente majeure 2 :

Diminuer les contaminations chez les patients non répondeurs et faiblement répondeurs à la vaccination

- Attente majeure 3:

Permettre à ces patients de reprendre une vie plus normale et de cesser de vivre dans la peur et l'isolement.

- Autres attentes :

Mettre fin aux considérables inégalités d'accès au traitement actuellement disponible et aux pertes de chances correspondantes.

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 :

Crainte que les difficultés et les inégalités d'accès persistent.

- Crainte principale 2 :

Crainte d'éventuels effets indésirables, limitée en raison des témoignages relatifs au Ronapreve, qui semble bien toléré.

- **Crainte principale 3 :**

Crainte de l'émergence d'un variant échappant à ce traitement.

- **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'utilisateurs 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 :** Contamination par le Covid19
- **Type d'information 2 :** Forme grave
- **Type d'information 3 :** Eventuels effets indésirables

→ **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 ?
-

→ **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 par l'intermédiaire du prescripteur ou en ligne, à 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 ?**

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.

En fonction des données d'évaluation, levée partielle de la recommandation d'isolement, mais maintien des gestes barrière, au même titre qu'une personne efficacement vaccinée.

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 ?**

n/a

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) ?**

Plusieurs enquêtes sur le vécu des patients, recueil de témoignages sur les réseaux sociaux, le forum, les visios hebdomadaires d'échanges, via des appels à contributions dédiés, etc.

- **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 ?**

Pas de recueil sur ce traitement à ce jour, en revanche de nombreuses données et témoignages sont recueillis en continu par l'association auprès des patients sur leur expérience du Ronapreve ou du nonaccès au Ronapreve.

- **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 ?**

→ **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 :

« Nous comptons sur vous pour affirmer que nous ne serons pas ignorés, oubliés, laissés de côté, dans notre immense vulnérabilité, mais qu'au contraire nos vies sont précieuses et que notre pays se mobilisera pour les sauver » Extrait de notre lettre ouverte à Emmanuel Macron du 22 juillet 2021.

Nous souhaitons également souligner trois points d'attention : il nous semble indispensable que l'accès à ce traitement soit élargi aux patients faiblement répondeurs à la vaccination. Ses conditions d'utilisation doivent permettre son administration à domicile dès l'initiation du traitement. Enfin, afin de simplifier au maximum les conditions d'utilisation, le test PCR préalable à l'administration pourrait être supprimé ou remplacé par un test salivaire.

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts

→ Souhaitez-vous que cette rubrique soit rendue publique ?

- ☒ Oui
- ☐ Non

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

→ **Personne contact pour les contributions :**

- Nom prénom : Caillé Yvanie
- Fonction : administratrice, fondatrice

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.

- Adresse électronique :mail@yvanie.fr
- Téléphone :06 10 25 14 63

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

L'association Renaloo est née en 2002, sous la forme d'un blog et à l'initiative d'une patiente, qui entendait témoigner et partager son expérience de l'insuffisance rénale terminale.

Renaloo est aujourd'hui la première communauté web francophone de patients et de proches dédiée à l'insuffisance rénale, la greffe et la dialyse. C'est aussi une association de patients agréée, très engagée dans le domaine de la démocratie sanitaire, pour améliorer la qualité des soins, de la vie, de l'accompagnement des personnes qui vivent avec une maladie rénale.

→ Composition des associations non agréées et nature des groupes d'utilisateurs

Décrivez la composition des instances (conseil d'administration et bureau) : noms des personnes, titres.

10.2 Informations sur le financement de votre structure et autres liens d'intérêts

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

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

→ Budget total de l'association pour l'année passée : 448 000

→ Budget total de l'association pour l'année en cours : 551908

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021 (à date)	FNDS	134 802	24,5
2021 (à date)	ARS IDF	200 000	36,2
2021 (à date)	Open society foundations	45 067	8,2
2021(à date)	Astrazeneca	20 000	3,6
2021 (à date)	Pfizer	9 550	1,7
2021(à date)	Roche	5 550	1
2021(à date)	Biogaran	2 500	0,4
2021(à date)	Lilly	840	0,15

2021(à date)	Physidia	10 000	1,8
2021(à date)	Astellas	15 000	2,7
2021(à date)	Takeda	12 000	2,17
2020	Dons individuels et adhésions	31 133	7%
2020	Pfizer (dons et prestations)	12 050	2,7%
2020	Sanofi	11 280	2,5%
2020	Otsuka	2 000	0,4%
2020	BMS	25 000	5,6%
2020	Physidia	10 000	2,2%
2020	Astrazeneca	10 000	2,2%
2020	Takeda	15 000	3,3%
2020	Novartis	2 500	0,5%
2020	Nextep	1 500	0,3%
2020	Fondation de France	16 000	3,6%
2020	Open society foundations	3 201,76	0,7%
2020	Bayer	975	0,2%
2020	Roche	7 800	1,7%
2020	FNDS	47 177	10,5%
2020	ARS IDF	200 000	44,65%

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

Remerciements

Nous vous remercions beaucoup pour votre apport et votre temps passé. Ils sont importants. Votre contribution, notamment la synthèse ci-dessus, sera notamment mentionnée oralement lors de la séance de la commission.