

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 : France Vascularites

Adresse du siège* : 7 Rue de l'église 21540 Blaisy-Bas

Nature de la structure* : Association agréée au niveau National

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

350 en moyenne

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

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

Raison : Manque de disponibilité

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

Nom commercial* : TAVNEOS (Avacopan)

Dénomination commune internationale (DCI)* : ?

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement des patients adultes atteints de granulomatose avec polyangéite (GPA) ou polyangéite microscopique (PAM) ayant un risque de décompensation liée aux fortes doses de glucocorticoïdes ou identifiés comme présentant un risque élevé de développer des complications aux fortes doses de glucocorticoïdes.

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

Nous espérons que l'AMM sera obtenue.

La contre-indication des corticoïdes pour certains patients et l'épargne cortisonique qui pourra être obtenue avec cette indication est très 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 : Maladies systémiques souvent séquellaires avec traitements lourds (corticothérapie au long cours, immunosuppresseurs...)
- Argument 2 : Rechutes fréquentes => maladies chroniques
- Argument 3 : Prévalences : GPA : 22 cas par million d'habitants par an / PAM : 1 cas pour 100 000 habitants / an

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

Les vascularites entraînent un impact important sur la qualité de vie du patient. La reprise du travail n'est parfois pas possible. Les proches doivent parfois assumer seul les charges du foyer. Certains parents d'enfants porteurs de vascularites sont obligés d'arrêter de travailler pour s'occuper de leur enfant.

- La vie socio-professionnelle est également lourdement impactée par la nécessité de limiter les contacts extérieurs en regard des traitements immunosuppresseurs.

- Ces difficultés quotidiennes peuvent engendrer stress, dépression, fatigue, repli sur soi, isolement, déni pour le patient mais également pour les proches

- **Fatigue intellectuelle ou physique :**

Perte de concentration, troubles de la mémoire, fatigabilité.

Fatigue liée à l'activité de la maladie sur les capacités du patient (même en période de rémission avec des symptômes parfois chroniques), mais également fatigue liée aux traitements, aux multiples rendez-vous et examens, aux angoisses, à la gestion quotidienne des symptômes ou séquelles.

Perte de tonus musculaire liée aux corticoïdes.

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

Pas d'indication de TAVNEOS pour les enfants pour le moment

- **Activités de la vie quotidienne :**

Certains patients ont besoin d'une aide à domicile selon le degré d'atteintes. Ou une aide d'un proche aidant.

- **Mobilité/déplacement :**

Selon les atteintes, il n'est pas rare que le patient bénéficie de carte mobilité inclusion. Les déplacements dans les pays sous-développés sont déconseillés au regard de la vaccination avec vaccin vivant et les immunosuppresseurs.

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

Certains patients ne peuvent pas reprendre d'activité professionnelle ou alors à temps partiel. De nombreux patients ont recours à la reconnaissance travailleur handicapé et bénéficie d'une réorientation professionnelle.

- **Vie affective :**

Les effets secondaires des corticoïdes comme l'irritabilité, les insomnies peuvent perturber les relations affectives.

- **Vie sexuelle :**

- **Vie sociale :**

L'isolement est présent chez certains patients en regard des traitements immunosuppresseurs et/ou fortes doses de corticoïdes.

- **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 corticoïdes, pour combattre rapidement l'inflammation. Les patients rapportent un bénéfice et une diminution des symptômes de premiers plans. Les effets secondaires de ces corticoïdes ont cependant un impact important : - *Prise de poids (nécessité d'un régime alimentaire sans sel et sans sucre)*

- *Perte de sommeil / insomnies*
- *Ostéoporose*
- *Diabète cortico-induit*
- *Irritabilité / troubles du comportement*
- *Problèmes digestifs*
- *Problèmes cutanés*
- *Dépression*
- *Insuffisance surrénaliennes*
- *Etc*

Les immunosuppresseurs, pour contrôler le système immunitaire et obtenir et/ou maintenir la rémission. Les effets secondaires peuvent être : *Infections*

- *Infections opportunistes*
- *Fatigue*
- *Nausées*
- *Diarrhées*
- *Etc*

→ 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 contre-indications aux corticoïdes
- Argument 2 : Les effets secondaires des corticoïdes
- Argument 3 : _____

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 :

-
- Amélioration majeure 2 :

-
- Amélioration majeure 3:
-

- 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 :
-

- 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 :

Proposer un autre traitement pour les patients qui ont une contre-indication à l'utilisation des corticoïdes

- Attente majeure 2 :

Diminuer voire annuler les effets secondaires liés aux corticoïdes. L'épargne cortisonique

- Attente majeure 3:

Maintenir une rémission durable et avoir, à minima, la même garantie d'action sur la maladie que les corticoïdes

- Autres attentes :

Que le patient puisse adhérer plus facilement au traitement car moins contraignant

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 :**

De nouveaux effets secondaires, mais les premières publications sont plutôt rassurantes

- **Crainte principale 2 :**

L'accessibilité du traitement par rapport à son coût

- **Crainte principale 3 :**

Une perte de chance pour les patients dont le médecin ne serait pas informé de la possibilité de prescrire ce médicament dans les situations de l'indication.

- **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 :** Effets secondaires.
- **Type d'information 2 :** Est-ce qu'il y a une amélioration des symptômes ou en tout cas une maîtrise de l'activité de la maladie.
Est-ce qu'il y a un bénéfice au quotidien
- **Type d'information 3 :** Si la posologie, la forme, le goût ne sont pas contraignants

→ **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. ?)**

Le médecin prescripteur, les associations de patients

→ **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 ?**

Je ne pense pas qu'il y ait de risque particulier, mais une plaquette informative pour le patient serait un plus (durée standard du traitement, que faire en cas d'oubli de prise, prendre le traitement à quel moment de la journée...)

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.

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 ?**
-

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) ?**

Expérience de terrain, échanges avec les médecins experts, congrès de médecine interne et information à destination des patients de la part des institutions, groupe de relecture PNDS

- **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 ?**
-

- **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 ?**

Raphaël DARBON

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

Indirectement par les informations communiquées par notre conseil scientifique et indirectement avec les interactions du laboratoire Vifor Pharma et les associations de patients vascularites en Europe.

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 patients qui ont une contre-indication à l'utilisation des corticoïdes ont une perte de chance considérable pour lutter contre l'inflammation ou alors au dépend de problèmes supplémentaires à gérer s'ils doivent malgré tout avoir recours aux corticoïdes.

Les effets secondaires des corticoïdes sont très importants et rarement anodin. Ils peuvent, dans certain cas, limiter l'adhésion au traitement par le patient. Ils peuvent également avoir un impact sur l'entourage. Les patients qui auraient des effets secondaires trop important pour leur santé auraient une solution avec cette nouvelle molécule.

Pour ces 2 raisons essentielles, ce médicament faciliterait l'adhésion au traitement, l'acceptation de la maladie et le « mieux vivre avec », et permettrait également au patient d'être plus facilement acteur de sa prise en charge.

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'usagers³

➔ **Personne contact pour les contributions :**

- Nom prénom : DARBON Raphaël
- Fonction :Président
- Adresse électronique :association.vascularites@gmail.com
- Téléphone :09 87 67 02 38

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.

➔ **Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :**

Santé, loisirs scientifiques et techniques, formation, éducation, culture, pratiques d'activités artistiques et culturelles...

➔ **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 : En cours de bilan**

➔ **Budget total de l'association pour l'année en cours : Budget prévisionnel en cours**

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021	CARSAT BFC	1 500€	
2022	CARSAT BFC	1 500€	
	Cotisation des adhérents, subventions, produits de manifestations.	En cours de bilan	

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

Nous avons reçu un financement du laboratoire Vifor Pharma en 2020 de 3 000€ afin de nous aider à organiser 3 jours de formations sur l'auto-immunité pour nos adhérents. Ce stage ayant été annulé en raison de la pandémie, ce financement nous a permis d'organiser des ateliers complémentaires à l'éducation thérapeutique du patient en visio et en accord avec Vifor Pharma.

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.

Accès précoce aux médicaments - Questionnaire de recueil du point de vue des associations et groupes d'usagers du système de santé - 7 juillet 2021

Toutes nos publications sont téléchargeables sur www.has-sante.fr