

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 : FRANCE REIN

Adresse du siège* : 19 boulevard Malesherbes 75008 PARIS

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national

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

6500

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : _____

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

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

Nom commercial* : KAPRUVIA

Dénomination commune internationale (DCI)* : Difélikéfaline

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement du prurit sévère associé à une insuffisance rénale chronique chez les patients adultes hémodialysés

→ 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 et la population nous semblent pertinentes.

Pour répondre à la partie relative à la qualité de vie du questionnaire, nous nous appuyons sur les résultats d'une enquête en ligne réalisée en septembre et octobre 2021 sur la qualité de vie des patients dialysés. Nous en avons extrait les données relatives aux patients hémodialysés souffrant de prurit sévère.

Rappel méthodologique :

L'enquête porte sur la qualité de vie des patients dialysés.

- Sur 857 réponses complètes reçues, nous avons 685 patients en hémodialyse.
- Parmi eux, 223 (soit 32,5%) patients hémodialysés déclarent souffrir de prurit.
- Sur ces 223 patients, 131 estiment leur prurit « désagréable » à « insoutenable » (sur une grille de 1 à 5 (1= tout à fait supportable ; 4 = désagréable ; 5 = insoutenable)).

Nous retenons ce critère « désagréable » à « insoutenable » pour définir la population cible « prurit sévère ».

L'âge moyen dans cette population (patients hémodialysés souffrant d'un prurit sévère) est de 61 ans.* Ces patients ont de 25 à 89 ans.

Ces patients sont globalement pris en charge dans les mêmes modalités que les patients sans prurit.

Répartition comparée des modes de prise en charge des patients Hémodialysés	Patients HD avec prurit sévère	Patients HD sans prurit
Centre lourd	17,5%	15,3%
UAD	26,7%	33,8%
UDM	51%	38,7%
Domicile	4,50%	10,3%
NSP	0,30%	1,9%

*La population ayant répondu à l'enquête en ligne était plutôt suivie dans des UAD, des UDM ou en dialyse à Domicile, la population relevant de centre lourd est donc sous-représentée.

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.

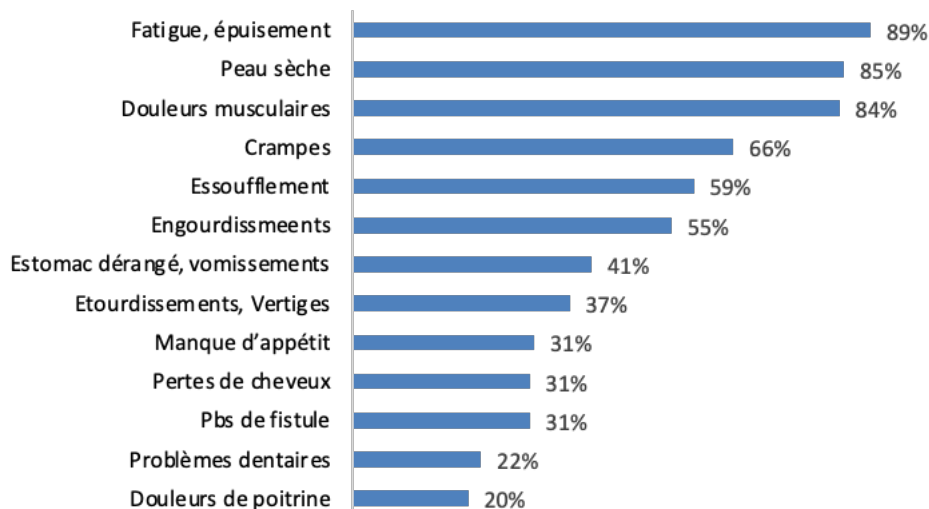
→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?**

- Argument 1 : Une littérature abondante associe le prurit à une diminution de la qualité de vie, à une augmentation du risque de comorbidité et même de mortalité.
Ainsi, dans l'article *Prurit associé à la maladie rénale chronique* (Néphrologie et Thérapeutique 17 : 488-495, A. Lannot, D. Kottler, C. Béchade, 2021), il est rappelé que « *parmi 23 264 patients hémodialysés traités dans 21 pays, le risque de mortalité ajusté sur les comorbidités était plus élevé chez ceux qui souffraient de prurit intense* ».
- Argument 2 : Outre l'impact sur la mortalité, le prurit sévère a également un fort retentissement sur l'état psychique des patients : 87% des patients hémodialysés présentant un prurit quasi-constant témoignaient d'un sentiment de dépression (Rayner HC, Larkina M, Wang M, Graham-Brown M, van der Veer SN, Ecdet T, et al. International comparisons of prevalence, awareness, and treatment of pruritus in people on hemodialysis. Clin J Am Soc Nephrol 2017;12:2000–7.).
- Argument 3 : Le prurit sévère altère également significativement la vie sociale des patients hémodialysés : ils sont 78% à rencontrer des difficultés à travailler, 78% à témoigner ressentir de la frustration et 71% à déclarer des altérations dans leurs interactions sociales (Rayner HC, Larkina M, Wang M, Graham-Brown M, van der Veer SN, Ecdet T, et al. International comparisons of prevalence, awareness, and treatment of pruritus in people on hemodialysis. Clin J Am Soc Nephrol 2017;12:2000–7) .

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

Les patients se déclarant atteints de prurit sévère, disent souffrir de 7 symptômes différents en moyenne, dont leur prurit. Pour comparaison, la moyenne des patients dialysés déclare un peu plus de 5 symptômes. Parmi les plus fréquents :

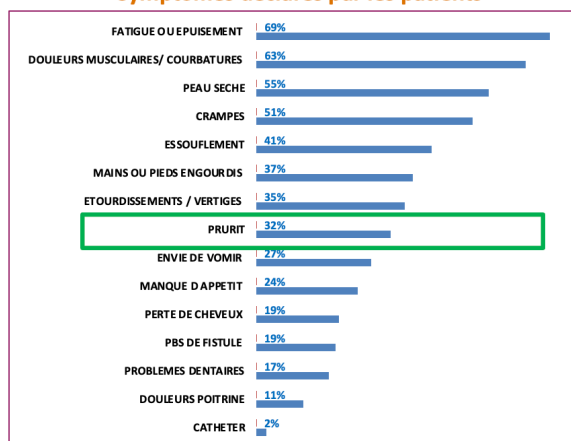
Autres symptômes déclarés en plus du prurit sévère



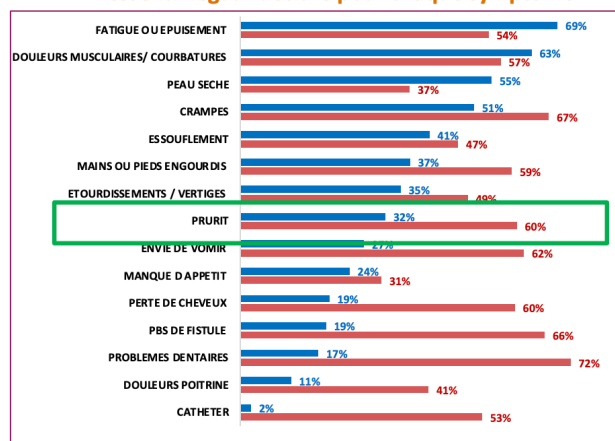
Un rappel sur notre enquête globale. Le prurit fait partie des symptômes dont le ressenti est important. (2 tableaux ci-dessous).

Nous avons demandé aux patients de déclarer leurs symptômes (tableau de gauche), puis d'évaluer le ressenti pour chaque symptôme. 60 des patients souffrant de prurit, dans la population totale de notre enquête, estiment leur prurit « insoutenable » ou « désagréable » (tableau de droite).

Symptômes déclarés par les patients



Ressenti négatif déclaré pour chaque symptôme *



* « Tout à fait supportables » - « Supportables » - « Modérément désagréable » - « Désagréable » - « Insoutenable »

A la question « ces symptômes ont-ils été déclarés à l'équipe soignante » : 33% des patients hémodialysés souffrant de prurit sévère disent avoir déclaré leurs symptômes à l'équipe soignante.

A la question « ces symptômes font-ils l'objet d'un traitement » : 19% des patients hémodialysés souffrant de prurit sévère déclarent que leurs symptômes font l'objet d'un traitement.

Ces patients autoévaluent leur état de santé et leur état moral moins favorablement que la population des patients hémodialysés ne déclarant pas de prurit :

- Ils déclarent un état de santé moyen de 3,0 sur 5 / (Moyenne population des HD sans prurit* : 3,3) ;
- Ils déclarent un état moral moyen de 3,2 sur 5 / (Moyenne population des HD sans prurit : 3,7).

**Pour les comparaisons, nous retenons les réponses des 462 patients en HD mais ne déclarant pas de prurit*

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

FATIGUE PHYSIQUE :

89% des patients souffrant de prurit sévère déclarent également ressentir de la « fatigue/épuisement ».

Ils sont 83% à considérer cette fatigue/épuisement comme « désagréable à insoutenable ».

Par comparaison, les patients HD ne souffrant pas de prurit sont 62% à déclarer une fatigue/épuisement.

DOULEURS :

Cette fatigue/épuisement est la plupart du temps associée à des douleurs.

En effet, 82% de ces patients se disant fatigués/épuisés, déclarent « avoir souffert au cours des 4 dernières semaines ». C'est un peu plus que dans la population totale des 131 patients souffrant de prurit (80%).

En revanche, c'est beaucoup plus que les patients HD sans prurit, qui sont 48% à déclarer « avoir souffert au cours de 4 dernières semaines ».

FATIGUE INTELLECTUELLE :

Sur le plan de la fatigue intellectuelle : Ici encore, la présence d'un prurit sévère apparaît comme un facteur aggravant de la situation du patient.

58% déclarent « avoir-vous eu des difficultés à se concentrer et réfléchir au cours des 4 dernières semaines ». Ils sont 40% dans la population HD sans prurit.

50% estiment avoir mis plus de temps à réagir à ce qui était dit ou fait autour d'eux, au cours des 4 dernières semaines. Contre 30% dans la population HD sans prurit.

SOMMEIL : autoévaluation de la qualité du sommeil, sur une échelle de 1 à 5 (1= très mauvais ; 5 = très bon)

Les patients en HD avec prurit sévère déclarent un sommeil à 2,5 / 5 contre 3,1 pour les patients en HD sans prurit.

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

NS

– **Activités de la vie quotidienne :**

Nous comparons ci-après les populations des 131 patients HD avec prurit sévère et la population des patients en HD sans prurit. Nous constatons, ici encore, que la présence d'un prurit sévère est un facteur nettement défavorable en termes de « vie quotidienne ».

	131 Patients HD avec prurit sévère	462 Patients HD sans prurit sévère
Ma maladie rénale me rend la vie trop compliquée	88%	62%

Ma maladie me prend trop de temps	90%	67%
J'ai le sentiment d'être un poids pour ma famille	56%	35%

– **Mobilité/déplacement :**

Nous avons demandé aux patients : « A quel point êtes-vous gêné(e)s par ce qui suit ? ». Sur une échelle de 1 à 5 (1= pas du tout ; 5= énormément), pour les déplacements, le score est de 4 sur 5 (contre 3,4 pour les HD sans prurit). Soit un niveau de désagrément supérieur chez les hémodialysés porteurs de prurit sévère.

Mêmes réponses plus défavorables aux hémodialysés porteurs de prurit sévère pour les questions suivantes :

Au cours des 12 derniers mois	131 Patients HD avec prurit sévère	462 Patients HD sans prurit sévère
Sont partis en vacances	25%	33%
Sont allés au spectacle	15%	15%
Ont fait des activités physiques	26%	31%
N'ont fait aucune de ces activités	48%	32%

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

TRAVAIL

- 69% des patients HD avec prurit sévère ne travaillent pas.
- Parmi eux, 63% déclarent avoir dû arrêter de travailler « du fait de la dialyse ».
- 11% travaillent à temps partiel
- 11% travaillent à temps plein.
- (8% ne répondent pas à la question.)

PRECARITÉ

- 31% patients en HD souffrant de prurit sévère déclarent « rencontrer des difficultés financières chaque mois ».
- Ce taux n'atteint que 19,5% chez les patients en HD sans prurit.

Sans pouvoir expliquer l'écart, cet indicateur de précarité est ainsi nettement plus élevé dans la population HD souffrant de prurit sévère.

– **Vie affective :**

– **Vie sexuelle :**

Les patients ont autoévalué la « qualité de leur vie intime et sexuelle ». Ici encore, les scores sont défavorables aux patients souffrant de prurit sévère :

Population cible des HD avec prurit sévère : moyenne de 2,18 / 5 contre 2,50 / 5 chez les HD sans prurit.

– **Vie sociale :**

Les personnes souffrant de prurit sévère sont 55% à déclarer s'isoler parfois à très souvent. Ce taux tombe à 33% dans la population des HD sans prurit.

Ils sont 36% à considérer que leur état de santé impacte les relations avec la famille (contre 19% pour la moyenne des HD sans prurit).

A la question « Au cours des 4 dernières semaines, est-ce que votre état physique ou moral a perturbé vos relations avec la famille, les amis, les voisins ou d'autres groupes ? » :

- Énormément 19%
- Moyennement à assez fortement 28%

Enfin, les patients en HD avec prurit sont 42% à déclarer être « parfois à très souvent » agressifs avec leur entourage, contre 27% chez les patients en HD sans prurit.

– **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.)

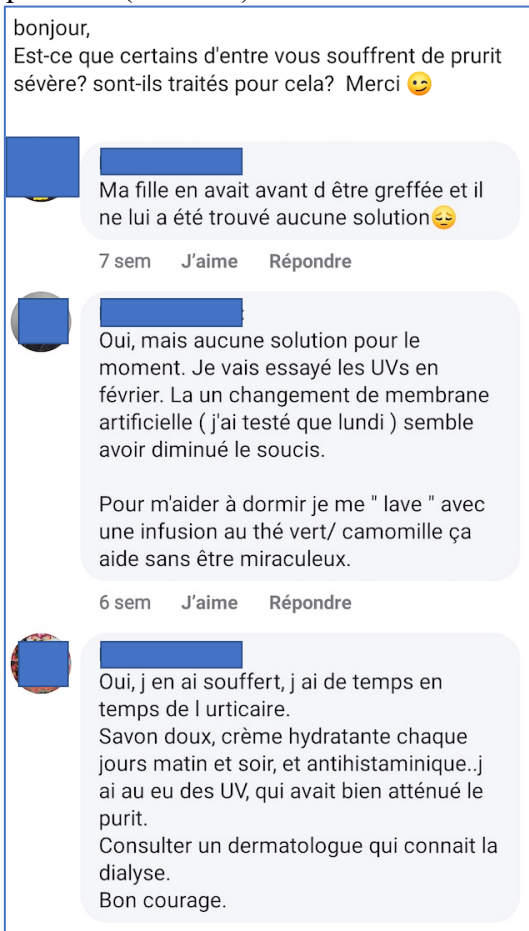
Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans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

Votre réponse :

Il faut d'abord rappeler que le prurit associé à la maladie rénale chronique est multifactoriel et est souvent sous-estimé par les soignants : « Ainsi, il a été montré sur des données DOPPS que parmi 268 responsables médicaux de centre de dialyse, 69 % sous-estimaient la prévalence de patients

souffrant de prurit dans leur centre » (*Prurit associé à la maladie rénale chronique*, Néphrologie et Thérapeutique 17 :488-495, A. Lannot, D. Kottler, C. Béchade, 2021).

Aussi, il apparaît qu'il n'y a pas réellement de consensus établi dans les traitements (*Prurit associé à la maladie rénale chronique*, Néphrologie et Thérapeutique 17 :488-495, A. Lannot, D. Kottler, C. Béchade, 2021). Cette absence de consensus et le manque d'efficacité nous ont également été remontés directement par les patients. (Cf. infra) :



Extrait d'une conversation du groupe Facebook France Rein

Les traitements du prurit sévère chez les patients hémodialysés font intervenir **des gabapentinoïdes** (pregabaline et gabapentine) **pour traiter la neuropathie périphérique**. Ces traitements ont un bon niveau de preuve et d'efficacité. Cependant, ces traitements font courir également des risques importants de surdosage, de confusion, de chute et de fracture (Sukul N, Karaboyas A, Csomor PA, Schaufler T, Wen W, Menzaghi F, et al. Self-reported pruritus and clinical, dialysis-related, and patient-reported outcomes in hemodialysis patients. *Kidney Med* 2020;3:42–53.).

Aussi, ces traitements sont prescrits sous **forme orale**, ce qui peut poser un risque en matière d'observance, là où un traitement IV pouvant être administré avec la dialyse présente un avantage clair en matière de qualité de vie des patients hémodialysés.

La capsaïcine peut également être prescrite, mais elle n'est recommandée que pour des formes localisées du prurit chronique (Weisshaar E, Szepietowski JC, Dalgard FJ, Garcovich S, Gieler U, Giménez-Arnau AM, et al. European S2k Guideline on Chronic Pruritus. *Acta Derm Venereol* 2019;99:469–506). De ce fait, elle n'est pas vraiment adaptée au prurit sévère qui peut être très étendu. En effet, ce traitement est appliqué directement sur la peau et provoque érythèmes et sensations de brûlures.

La photothérapie par rayon UV-B n'a pas d'effets concluants d'après les études et présente des risques de cancers cutanés (Hercz D, Jiang SH, Webster AC. Interventions for itch in people with advanced chronic kidney disease. Cochrane Database Syst Rev 2020;12:CD011393) .

Enfin, **les antistaminiques et les dermocorticoïdes** n'ont pas non plus fait preuve de leur efficacité et ils ne sont pas recommandés pour le traitement du prurit sévère chez les patients hemodialysés (Weisshaar E, Szepietowski JC, Dalgard FJ, Garcovich S, Gieler U, Giménez-Arnau AM, et al. European S2k Guideline on Chronic Pruritus. Acta Derm Venereol 2019;99:469–506).

➔ **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 principaux traitements actuels sont les gabapentinoïdes : ils présentent des risques d'effets indésirables importants (surdosage, confusion, chutes et fractures).
- Argument 2 : Les gabapentinoïdes sont prescrits sous forme orale, accentuant la charge du traitement pour des patients dont la vie est déjà rythmée par des séances longues et fatigantes de dialyse.
- Argument 3 : L'absence de consensus de prise en charge témoigne d'un manque de preuve dans l'efficacité des traitements employés contre le prurit : au prix d'une inégalité dans la prise en charge.

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 :

Pouvoir disposer d'un traitement efficace contre le prurit des patients hémodialysés.

- Attente majeure 2 :

La deuxième attente serait de disposer d'un traitement sans effets indésirables et pour lequel on serait **sûr de la bonne tolérance chez les patients**.

- Attente majeure 3:

La dernière attente serait que ce traitement soit neutre sur la qualité de vie des patients ou qu'il l'améliore. Ainsi, l'idéal pour améliorer la qualité de vie des patients hémodialysés serait que ce traitement puisse être administré en même temps que la séance de dialyse, supprimant ainsi les risques d'un traitement oral (observance, surdosage, charge mentale).

- Autres attentes :

Nous rappelons que les patients hémodialysés atteints de prurit sévère déclarent en moyenne 7 symptômes, contre 5 pour les patients dialysés en moyenne d'après notre enquête en ligne. Pouvoir traiter au moins un de ces symptômes serait un vrai soutien aux patients.

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 :**

La première crainte est celle de la disponibilité des traitements en centre : le prurit étant souvent sous-estimé par les soignants, les patients auront-ils suffisamment accès à ces nouveaux traitements ?

- **Crainte principale 2 :**

La seconde crainte que nous puissions avoir serait sur l'efficacité du traitement, en miroir des fortes attentes des patients sur un traitement efficace contre leur prurit sévère

- **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 de 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 :** L'évolution du prurit en termes d'étendue et de ressenti (sur une cote de 0 à 5)
- **Type d'information 2 :** Le recueil des effets secondaires qui apparaissent avec la prise du traitement

– **Type d'information 3 :** _____

→ **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 ?

Le PROMs spécifique Maladie rénale chronique est annoncé mais n'est pas encore disponible sur le site de la HAS. On peut utiliser un autre questionnaire spécifique à l'insuffisance rénale (KD-QOL).

Un PROMs générique comme le EQ-5D ou le SF-12 permettrait de mesurer l'impact sur l'état physique et psychique des patients. Cependant, la fréquence d'administration du questionnaire EQ-5D (tous les jours) le rend impraticable pour beaucoup de patients, on préférera le SF-12.

→ **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. ?)**

L'idéal serait de pouvoir combiner plusieurs modalités de recueil : le SF-12 peut être autoadministré, néanmoins pour les patients hémodialysés pris en charge en centre lourd, et qui peuvent être moins autonomes, l'aide d'un soignant permettrait de s'assurer qu'il n'y ait pas un biais d'exclusion dans les résultats de l'enquête.

Aussi, si le traitement est administré en IV pendant la séance de dialyse, il semblerait logique que le recueil des informations soit administré concomitamment soit par le patient soit avec l'aide d'un soignant pour les patients moins autonomes.

→ **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 ?**

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 ?**

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) ?**

Nous avons exploité les résultats d'une enquête en ligne que nous avons conduite du 10 septembre au 10 octobre 2021 auprès des patients (857 réponses complètes) sur la qualité de vie des patients dialysés. Ces travaux ont été complétés par des articles scientifiques récents relatifs au prurit associé à la maladie rénale chronique.

→ **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 ?**

Non applicable

→ **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 ?**

Cécile VANDEVIVERE (Directrice générale de la fédération nationale FRANCE REIN et le Dr Brigitte THEVENIN (médecin conseil de France Rein et membre du Bureau de la fédération nationale FRANCE REIN.

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

La société AB Conseils, que nous avons mandaté pour nous accompagner pour la création et l'exploitation de l'enquête en ligne sur la qualité de vie des patients dialysés.

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 :

Le prurit associé à la maladie rénale chronique est souvent sous-estimé par les soignants et de ce fait peu, ou mal, traité. Pourtant, tant l'enquête en ligne que nous avons conduite à l'automne 2021 que la littérature disponible mettent en lumière le fort impact du prurit sur la qualité de vie des patients

hémodialysés. Ainsi le prurit sévère est associé à d'importantes difficultés psychiques et sociales mais également à une mortalité plus élevée.

Ainsi, le prurit associé à la maladie rénale chronique chez les patients adultes hémodialysés ressort comme un facteur systématiquement aggravant de la qualité de vie des patients. Qu'il s'agisse de la douleur, de la fatigue ou encore de la vie sociale, ces patients déclarent des scores de QoL très inférieurs, comparés aux patients en HD sans prurit. En outre, ils vivent avec 7 symptômes (dont leur prurit sévère) contre 5 symptômes pour la moyenne des patients dialysés ayant répondu à l'enquête.

Pour ce qui est des traitements disponibles, l'absence de consensus de prise en charge témoigne d'un manque de preuve dans l'efficacité des traitements employés contre le prurit : au prix d'une inégalité dans la prise en charge.

Nous attendons donc un traitement qui améliorerait la qualité de vie de ces patients en état de souffrance en réduisant l'impact du prurit sur la vie quotidienne, et dont le mode d'administration (IV) serait plus compatible avec la prise en charge en hémodialyse. (Traitement combiné avec la séance de dialyse).

Il est indispensable de donner à ces patients toute opportunité d'alléger un peu le fardeau, sur au moins ce symptôme très impactant sur leur vie. Nous accueillons donc favorablement l'arrivée d'un nouveau traitement.

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 : Cécile VANDEVIVERE
- Fonction : Directrice générale
- Adresse électronique : c.vandevivere@francerein.org
- Téléphone : 01 55 27 37 75

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

Les principales missions de France Rein sont d'informer, soutenir et défendre les patients insuffisants rénaux :

- Information de prévention, information sur les traitements, sur la prise en charge, l'état sanitaire du pays et l'impact sur la vie des patients

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.

- Soutien aux aidants, soutien à la recherche (bourses pour les chercheurs), séjours de vacances pour les jeunes et enfants dialysés, soutien financier aux patients *via* un partenariat avec une mutuelle
- Défense des usagers auprès des institutions (association agréée) et plaidoyers

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

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 : 486162

→ Budget total de l'association pour l'année en cours : 728900

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
	voir tableau page suivante.		

→ 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.

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

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget de l'année concernée
2021	Laboratoires pharmaceutiques		
	- Astra Zeneca	27 880	5,73%
	- Vifor	11 994	2,47%
	- Astellas	5 600	1,15%
	- Physidia	8 400	1,73%
	- MSD France	6 000	1,23%
	- Dr Shar	5 000	1,03%
	- Novartis	9 820	2,02%
	- Sandoz	2 240	0,46%
	- Biomérieux	10 000	2,06%
	- Bayer	25 000	5,14%
	- ORKYN	3 000	0,62%
	- Baxter	8 000	1,65%
	- Amgen	5 000	1,03%
	- BMS	5 000	1,03%
	Fondations		
	- Fondation Hospitalière Rein	20 000	4,11%
	- Fondation de France	8 000	1,65%
	Entreprises secteur de la santé		
	- GIE Dialyse (B Braun)	5 000	1,03%
	- Néphrokit	3 600	0,74%
	- Frésenius	12 240	2,52%
	- Association Dialyse Provence Corse	6 480	1,33%
	- Clinique Delay	6 480	1,33%
	- Assurance Correfi	2 700	0,56%
	- Association Dialyse Insuffisants Réniaux	3 420	0,70%
	- Vivalto	1 800	0,37%
	Associations secteur de la santé		
	- International Dialyse Organisation	1 620	0,33%
	Direction Générale de la Santé	35 000	7,20%
	Associations régionales	97 074	19,97%
	Particuliers (legs, assurances vie, dons)	108 296	22,28%
	Reprise sur les fonds dédiés de l'association	41 519	8,54%
	TOTAL	486 163	100,00%

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget de l'année concernée
2022	Laboratoires pharmaceutiques		
	- Bayer	25 000	3,42%
	- Baxter	20 000	2,74%
	- MSD France	9 100	1,25%
	- Novartis	11 000	1,51%
	- Vifor	13 000	1,78%
	- Sandoz	9 100	1,25%
	- Astra Zeneca	21 500	2,94%
	- GSK	9 500	1,30%
	- Biomérieux	10 000	1,37%
	- Dr Shar	5 000	0,68%
	- Physidia	10 000	1,37%
	- Amgen	10 000	1,37%
	- BMS	5 000	0,68%
	Fondations		
	- Fondation Hospitalière Rein	20 000	2,74%
	- Fondation de France	8 000	1,10%
	Entreprises secteur de la santé		
	- GIE Dialyse (B Braun)	10 000	1,37%
	- Frésenius	12 240	1,68%
	- Association Dialyse Provence Corse	6 480	0,89%
	- Clinique Delay	6 480	0,89%
	- Association Dialyse Insuffisants Réniaux	3 420	0,47%
	- Mesogelos	1 800	0,25%
	- Assurance Correfi	4 680	0,64%
	Associations secteur de la santé		
	- International Dialyse Organisation	2 100	0,29%
	- France Adot	500	0,07%
	- AFIDTN	500	0,07%
	- France ADOT	500	0,07%
	- TRANSFORME	500	0,07%
	- AIRG	500	0,07%
	- RENIF		0,00%
	Associations régionales	117 400	16,07%
	Particuliers (legs, assurances vie, dons)	356 500	48,81%
	Reprise sur les fonds dédiés de l'association	20 600	2,82%
	TOTAL	730 400	100%

