

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 : contact.contribution@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 : ASSOCIATION France PSORIASIS

Adresse du siège* : 53 rue Compans 75019 PARIS

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national association agréée au niveau régional, association non agréée ; groupe de patients ou usagers du système de santé ; autre

dénomination de structure *crée en 1983, sous loi 1901, reconnue d'utilité publique en 1999*

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

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

20 000 personnes au fichier

Plus de 14 000 personnes inscrites à notre Newsletter

La plupart des personnes sont touchées personnellement par le psoriasis qu'il soit cutané ou rhumatismal.
Quelques cas de proches, notamment de parents d'enfants

Audition souhaitée:

☐ Oui x ☒ Non ;

Raison : _____

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

Nom commercial* : BIMZELX

Dénomination commune internationale (DCI)* : BIMEKIZUMAB

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

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

Oui, elle nous semble tout à fait 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 : Maladie chronique inflammatoire affichante et douloureuse (démangeaisons intenses, sensations de brûlure, peau crevassée)
- Argument 2 : Sa gravité est souvent sous-estimée, ses comorbidités souvent méconnues
- Argument 3 : Maladie qui souffre d'un déficit d'information auprès du grand public, voire des patients eux-mêmes

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

- Image sociale souvent impactée : confondue avec des désordres psychologiques ou relationnels, ou source de discriminations voire de moqueries
- Evolution complètement imprévisible qui peut générer un syndrome dépressif
-

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

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

– **Activités de la vie quotidienne :**

– **Mobilité/déplacement :**

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

professionnelle (chômage plus fréquent chez les psoriasiques que dans la population générale, discriminations à l'embauche)



– **Vie affective :**

- Toutes les relations familiales sont impactées :

impact important sur la vie commune et intime
soins chronophages , inesthétiques
renoncement fréquent à une vie sexuelle épanouie (altération de l'image de soi)
gestion difficile de la fatigue induite par la maladie

- D'où un stress induit par les conséquences de la maladie sur la vie du patient (dans 2/3 des cas) qui peut aller parfois jusqu'au syndrome dépressif

– **Vie sexuelle :**

intime (retentissement sur la vie sexuelle et la confiance en soi)

– **Vie sociale :**

gêne importante, victimes de rejet ou de moqueries

→ **Autres aspects :**

- Image de soi souvent très détériorée
- Image sociale souvent impactée : confondue avec des désordres psychologiques ou relationnels, ou source de discriminations voire de moqueries
- Evolution complètement imprévisible qui peut générer un syndrome dépressif

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 traitements sont adaptés en fonction de la sévérité du psoriasis

- **Les topiques (dermo-corticoïdes seuls ou associés aux dérivés de la vitamine D) :** Adaptés aux psoriasis légers. Mais si le psoriasis est étendu, ils sont trop chronophages et, surtout, incompatibles avec la plupart des tenues vestimentaires donc trop contraignants pour mener une vie normale, d'où une impossible observance.
- **La photothérapie (UVA ou UVB) :** grande inégalité d'accès sur le territoire. A raison de 3 séances par semaine, c'est incompatible avec la plupart des vies actives ou scolaires
- **Les systémiques de 1ère intention (méthotrexate, apremilast, ciclosporine) :** ils ont marqué un progrès dans la prise en charge du psoriasis, mais les effets secondaires sont très redoutés par les patients
- **Les biomédicaments :** Ils ont révolutionné le traitement du psoriasis par leur efficacité et leur facilité d'emploi. Cependant, on observe de nombreux phénomènes d'échappement. D'où l'intérêt d'augmenter l'offre thérapeutique et diversifier les solutions à proposer. Néanmoins, ils représentent un réel espoir dans la mesure où ils sont de plus en plus performants et permettent au patient de mener la vie sociale et personnelle à laquelle il aspire.

La stratégie thérapeutique n'est pas toujours expliquée ou comprise. Procéder par essai /erreur peut conduire à redouter un nouvel échec donc à se décourager et à se priver d'une solution

satisfaisante trop difficile à atteindre. C'est une des principales raisons contre laquelle nous devons lutter pour éviter une attitude de résignation par rapport à la maladie



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

- | | |
|----------------|--|
| - Argument 1 : | Temps d'attente d'efficacité |
| - Argument 2 : | La stratégie thérapeutique n'est pas toujours expliquée ou comprise |
| - Argument 3 : | Procéder par essai/erreur peut conduire à redouter un nouvel échec donc à se décourager et à se priver d'une solution. |

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

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.

traitements utilisés actuellement

- 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 :

Rapidité d'action

- Amélioration majeure 2 :

Urgence à traiter le psoriasis (risque de dépression)

- Amélioration majeure 3:

Impact sur la desquamation, les démangeaisons et la douleur.

- Autres améliorations :

Administration en deux injections sous- cutanées toutes les quatre semaines jusqu'à la semaine 16 et toutes les huit semaines par la suite

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 :

Diminution des démangeaisons

- Attente majeure 2 :

Facilité d'administration

- Attente majeure 3 :

Rapidité d'action

- 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 :
-

- 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 : Efficacité
- Type d'information 2 : Effets secondaires
- Type d'information 3 : Impact sur la qualité de vie

- 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. ?)

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.

- **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 ?**

Prévoir un numéro d'urgence

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 ?** (NB : le PUT-RD ne peut être communiqué qu'à des membres d'associations uniquement s'ils sont habilités à représenter l'association en tant que personne morale)

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) ?**

Toutes ces informations doivent être dans un langage clair et accessible à tous.

- **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 ?**

Cette contribution est alimentée par les retours que nous collectons auprès de tous nos contacts, qu'il s'agisse de relations individuelles (permanence téléphonique, boîte mail d'information,...) ou collectives (réunions virtuelles, partages d'expériences, chat...)

Nous n'avons pas reçu d'aide extérieure. Cette contribution s'appuie exclusivement sur les informations recueillies auprès des patients par nos écoutants, nos délégués ou notre modératrice.

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

- ☐ Oui
- x ☐ Non

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

Bénédicte CHARLES, présidente.

→ 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 :

Maladie chronique, affichante, grave, douloureuse et source de discrimination (confirmé par la résolution de l'OMS du 24 mai 2014)

La gestion des démangeaisons, celle des plaques, l'altération de l'image de soi qui en découle, ont un fort impact social, personnel et professionnel.

Pour un psoriasis modéré à sévère, les traitements de première intention sont inappropriés car insuffisamment efficaces et tellement contraignants à utiliser qu'ils ne permettent pas de mener une vie normale.

Par contre un traitement comme le BIMZELX , qui allie efficacité et facilité d'emploi, a toute sa place dans la stratégie thérapeutique du traitement du psoriasis en plaques modéré à sévère.

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts (il est obligatoire de renseigner toutes les parties de cette rubrique)

→ 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 : CHARLES Bénédicte
- Fonction : Présidente
- Adresse électronique : presidence@francepsoriasis.org
- Téléphone : 0673927455

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

Soutien et entraide en direction des personnes atteintes de psoriasis et leurs proches (mise à disposition de moyens d'information, site web, permanence d'écoute, réseaux sociaux, campagnes d'information, « cafés-psy » depuis 2011...réunions virtuelles, webinaires...).

-Sensibilisation du grand public et des institutions

-Sensibilisation des acteurs de santé, notamment en collaboration avec les dermatologues et les rhumatologues

- Initiation d'enquêtes médico-sociales

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

Administrateurs

ALLAIRE Sébastien

AUBERT Roberte

BANVILLET Anne

BORTOLUSSI Sylvie

CHARLE Pierre

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.

CHARLES Bénédicte
FOSSATI Nathalie
GERARD Rémi
GIRARDOT Pascal
JIMMY Patricia
THROMAS Franck
VECHOT Sophie

Bureau: Présidente: Bénédicte CHARLES
Vice-Président : Pierre CHARLE
Trésorier: Sébastien ALLAIRE
Secrétaire : Nathalie FOSSATI

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 : **Notre bilan comptable 2021 est en cours d'élaboration C'est donc celui de 2020 qui sert de support au tableau suivant :**
- Budget total de l'association pour l'année en cours : _____

Tableau 1 : Sources de financement

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

Contribution des associations de patients et d'utilisateurs aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

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

Notre bilan comptable 2021 est en cours d'élaboration

C'est donc celui de 2020 qui sert de support au tableau suivant :

Année 2020	Organisation	Montant	Pourcentage du budget total (y compris bénévolat) pour l'année concernée
<i>Adhésions</i>		10 140	2,9%
<i>Dons Particuliers</i>		17 206	4,9%
<i>Valorisation bénévolat</i>	4 682 heures	68 907	19,6%
<i>DONS CAMPAGNE</i>			
<i>JOURNEE</i>	Novartis	40 000	11,4%
<i>MONDIALE :</i>	Léo Pharma	30 000	8,5%
	Sandoz	5 000	1,4%
	Boehringer	10 000	2,8%
	Pfizer	10 000	2,8%
	UCB	7 500	2,1%
	ABBVIE	40 000	11,4%
	AMGEN	36 000	10,2%
	MEDAC	3 000	0,9%
<i>PARTENARIATS :</i>			
	ABBVIE	1 950	0,6%
	AMGEN	2 720	0,8%
	BMS	400	0,1%
	Boehringer	(2 400)	-0,7%
	Celgene	(11 660)	-3,3%
	Fresenius	1 667	0,5%
	Janssen	25 000	7,1%
	LEO	525	0,1%
	Lilly	16 000	4,6%
	Novartis	10 340	2,9%
	Sandoz	5 000	1,4%
	UCB	320	0,1%
	NOVARTIS AG	1 015	0,3%
<i>INSERTS REVUE :</i>	UCB	5 220	1,5%
<i>SUBVENTIONS</i>	MINEFI	3 000	0,8%

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

En 2020 : 282 428€ hors valorisation du bénévolat (351 335€ en valorisant le bénévolat)

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

Notre budget prévisionnel devrait se situer aux alentours de 250 à 300 K € pour 2021 (maintien des incertitudes dues à la crise de la Covid 19)

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

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

Nous tirons notre indépendance d'un financement multi-partenaires (une quinzaine, selon les années) régi par une charte déontologique établie par l'IFPA(International Federation of Psoriasis Association) et déclinée en France par décision du Conseil d'administration de France Psoriasis.

Par ailleurs le bénévolat tel qu'il est valorisé, représente plus du quart de nos ressources et de nos activités. En masse horaire, c'est le travail de près de 4 personnes, indicateur significatif de notre fonctionnement associatif.

Date : le 23/03/2022

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.