

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

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

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national

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

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : _____

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

Nom commercial* : Evusheld®

Dénomination commune internationale (DCI)* : tixagevimab - cilgavimab

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement de la COVID-19 chez les adultes et les adolescents qui ne nécessitent pas de supplémentation en oxygène et qui ont un risque accru d'évolution vers une forme sévère de la COVID-19

→ **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 est pertinente. Notre contribution concerne plus particulièrement la population des personnes sévèrement immunodéprimées et notamment insuffisantes rénales, greffées et dialysées que notre association représente.

→

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 : L'immunodépression, la transplantation d'organe et l'insuffisance rénale figurent toujours parmi les principaux facteurs de risques d'hospitalisation ou de décès malgré le rappel vaccinal

[https://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736\(22\)01656-7/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/lancet/article/PIIS0140-6736(22)01656-7/fulltext)

- Argument 2 : 49% des patients hospitalisés en soins critiques en France en période Omicron présentent une immunodépression (Etude SEVARVIR).

A très haut risque de forme grave de Sars-Cov-2 et insuffisamment protégées par la vaccination, les personnes sévèrement immunodéprimées sont contraintes depuis le début de la pandémie, pour tenter d'échapper à la contamination, d'adopter des comportements d'isolement et d'éviction stricte de la vie sociale.

Cette situation impacte durablement de nombreux domaines de la vie personnelle, sociale, familiale, professionnelle, ainsi que leur accès à la santé. Elle touche aussi très directement les familles, qui font face à la culpabilité de « ramener le virus à la maison ».

Elle provoque une anxiété importante et altère profondément la santé mentale.

*Daniels, J.; Rettie, H. The Mental Health Impact of the COVID-19 Pandemic Second Wave on Shielders and Their Family Members. Int. J. Environ. Res. Public Health **2022**, *19*, 7333. <https://doi.org/10.3390/ijerph19127333>*

- 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.

Les injonctions récentes (depuis la levée de la plupart des mesures sanitaires au printemps 2022) à l'« auto-protection », confronte à des limites importantes. Le port isolé du masque FFP2, avec des conditions d'utilisation forcément imparfaites, ne garantit pas une prévention totale contre la contamination, en particulier dans des lieux où les autres personnes sont très majoritairement démasquées et où la qualité de l'air n'est pas assurée.

→

– 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. Port du masque à domicile en présence des proches. Difficultés majeures pour les parents d'enfants scolarisés.

–

- **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 :

1. Le Paxlovid, très peu utilisé dans ces populations, notamment en raison de :
 - Contre-indication pour les insuffisants rénaux sévères
 - Nombreuses interactions médicamenteuses, notamment avec les antirejets utilisés en greffe rénale
2. Le Remdesivir, mais très peu utilisé en France, contre-indiqué pour les insuffisants rénaux sévères, qui nécessite trois perfusions sur trois jours consécutifs.

Sur le terrain, nous constatons via de très nombreux témoignages que le paracétamol, voire l'azithromycine, restent les « options » thérapeutiques les plus largement proposées aux patients concernés. Le principal motif évoqué est la croyance du défaut de gravité du variant Omicron, quelle que soit la population concernée.

Le traitement préventif actuellement disponible, Evusheld, a été à ce jour administré à 26.000 patients, soit à moins de 10% de la population estimée des immunodéprimés sévères.

De plus, il doit être renouvelé tous les 6 mois, mais pourrait être nécessaire plus souvent en cas de diminution plus rapide des anticorps, sans qu'un seuil ne soit d'ailleurs défini.

→

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

- Argument 1 : Défaut majeur d'accès à l'ensemble des traitements recommandés.
- Argument 2 : Contre-indication persistantes et freins liés aux interactions pour le Paxlovid
- Argument 3 : Lourdeur d'administration pour le Remdesivir

→

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 :

Il constitue une alternative au Paxlovid avec des conditions relativement simples d'utilisation.

-

- Amélioration majeure 2 :

La possibilité d'une prescription en ville et d'une administration en ville ou à domicile dans des conditions simples serait un progrès considérable pour favoriser l'accès à ce médicament.

-

- Amélioration majeure 3:

Nous disposons de témoignages de patients qui semblent montrer son intérêt dans les situations de portage prolongé du virus, non rares chez les immunodéprimés, y compris à plusieurs semaines de l'infection initiale et avec persistance des symptômes.

-

- 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 :

Le refus de prescription, et l'orientation vers des stratégies de prise en charges non recommandées, suscitant des pertes de chances.

-

- Inconvénient principal 2 :

Difficultés à respecter les délais d'administration du traitement.

-

- 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.

-

- Attente majeure 2 :

Rassurer les patients sur la disponibilité et l'accessibilité de traitements adaptés à leur situation en cas de contamination.

-

- Attente majeure 3:

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

Afin d'améliorer l'accès à ce traitement, et d'apporter des réponses aux patients qui se heurtent à des refus de soins, il est essentiel que la prescription et l'administration puissent se faire en ville et pas seulement à l'hôpital.

La possibilité de recours à des prescriptions conditionnelles serait également souhaitable afin de simplifier le circuit d'accès et de diminuer les délais d'administration du traitement.

-

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

-

- **Crainte principale 2 :**

Crainte de l'émergence de variants résistants.

-

- **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'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 :** Forme grave
- **Type d'information 2 :** Séquelles
- **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 ?

- 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



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 ?

→

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) ?

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 structuré sur ce traitement à ce jour, en revanche de nombreuses données et témoignages sont collectés en continu par l'association auprès des patients sur leurs expériences de l'épidémie de Covid, y compris en cas de contamination.

→

→ **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 ?**

Bénévoles de l'association

→

→ **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.

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
- 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.

Le bureau de Renaloo (élection lors du conseil d'administration du 14 janvier 2022) :

- Présidente : Nathalie Mesny
- Vice Président : Christian Baudelot
- Vice Président : Jean-Pierre Lacroix
- Secrétaire Général : Jean-Marie Guion
- Trésorier : Laurent Di Méglio

Le Conseil d'Administration de Renaloo (élection lors de l'Assemblée Générale du 18 juin 2022) :

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.

- Alain Atinault
- Christian Baudelot
- Olga Baudelot
- Sabrina Azzi Belrechid
- François Blot
- Marion Braks
- Noël Bruneteau
- Yvanie Caillé
- Jean Canneville
- Bernard Cléro
- Alain Coulomb
- Laurent Di Méglia
- Marianne Doz
- Régis Fargeat
- Jean-Marie Guion
- Jean-Pierre Lacroix
- Jean-Luc Le Coz
- Ronan Le Quéré
- Jean-François Llos
- Sylvie Mercier
- Nathalie Mesny
- Sophie Modelin
- Stéphane Percio
- Nicolas Rennert

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.

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