

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 Asthme & Allergies

Adresse du siège* : 8, rue Tronson du Coudray, 75008 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

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

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

Association Loi 1901, non agréé

1500

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : _____

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

Nom commercial* : TEZSPIRE

Dénomination commune internationale (DCI)* : TEZEPELUMAB

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

« TEZSPIRE (tézépélumab) / Médicament en accès précoce post-AMM indiqué comme traitement de fond additionnel chez l'adulte et l'adolescent de 12 ans et plus présentant un asthme sévère non contrôlé malgré une corticothérapie inhalée à forte dose.

→ **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 et correspond parfaitement aux besoins non couverts par les thérapeutiques actuellement disponibles dans l'indication asthme sévère.

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 : Fardeau de la maladie avec handicap fonctionnel majeur impactant les gestes de la vie quotidienne des patients
- Argument 2 : Fardeau des traitements avec fortes doses de corticoïdes inhalés et recours fréquents à la cortisone orale
- Argument 3 : Complications majeures des traitements cortisoniques entraînant des complications mortelles (risque cardio-vasculaire et diabète)

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

Impact majeur de la maladie

Usure physique avec gênes respiratoires permanentes, oppression thoracique et altération du confort de respiration.

Fardeau de la maladie et de ses traitements. Le verbatim des patients est glaçant. « Impression de vivre dans une armure »

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

Usure psychologique du handicap permanent et l'impossibilité de vivre et de respirer librement sans ce handicap.

La fatigue revient systématiquement lorsqu'on interroge les patients asthmatiques sévères. C'est même le mot essentiel qui vient en premier dans les verbatim. Les patients sont en permanence fatigués voire épuisés au moment des poussées d'asthme

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

L'asthme sévère est une maladie complexe difficile à prendre en charge. Un asthme mal contrôlé pendant plusieurs années cumulé aux recours fréquents aux corticoïdes systémiques peuvent entraîner un retentissement significatif sur la croissance.

– **Activités de la vie quotidienne :**

Impact majeur, gêne permanente. Marcher vite, parler en marchant ou marcher en côte confortablement, monter des escaliers, courir pour attraper un bus, faire le ménage, jouer au ballon avec ses enfants... est globalement impossible

– **Mobilité/déplacement :**

Gêne permanente. Aucun effort n'est confortable sur le plan respiratoire

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

Retentissement majeur même si la reconnaissance sociale de la maladie est très faible voire nulle.

– **Vie affective :**

L'asthme sévère est un handicap invisible, pas toujours compris par l'entourage au sens large (famille, amis, milieu professionnel) qui a impact négatif considérable sur la qualité de vie des personnes atteintes.

– **Vie sexuelle :**

- Les patients n'osent que rarement aborder les problèmes qu'ils peuvent rencontrer dans leur sexualité mettant en lumière le retentissement de l'asthme sur la vie amoureuse. C'est pourquoi l'association Asthme & Allergies a mené il y a quelques années une enquête. Un questionnaire a été rempli anonymement par 273 personnes asthmatiques. C'est parmi les personnes qui souffrent de l'asthme le plus sévère que les difficultés sont les plus éprouvantes : 46 % se déclarent gênées par leur asthme pendant les rapports sexuels, au point que 25 % sont même fréquemment contraintes d'interrompre l'acte

par manque de souffle. Un tiers des asthmatiques jugent que la maladie retentit ainsi globalement sur leurs relations de couple.

– **Vie sociale :**

La vie affective et la vie sociale sont très perturbées. Cela conduit assez souvent à un isolement social. Difficultés de se rendre au théâtre ou au cinéma puisque l'on va déranger tout le monde en toussant. Impossibilité de se rendre dans une soirée puisqu'il va y avoir de la fumée de cigarettes ... Les exemples sont nombreux. Les patients sont essouffés, ce qui va là aussi dans le sens d'un isolement social. Entre la cortisone entraînant parfois un surpoids et la gêne respiratoire permanente ... Difficile d'être en confiance dans les relations sociales et pour générer de nouveaux liens.

– **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 :

Aucun traitement curatif. Les traitements actuellement disponibles permettent de diminuer l'activité inflammatoire de la maladie et donc les symptômes. Le traitement le plus ancien est la cortisone orale dont le rapport bénéfice/risque n'est pas très favorable. Nous disposons également de biothérapies ciblant les IgE, l'IL5 et son récepteur ou le récepteur de l'IL4, mais certains patients ne sont pas éligibles à ces biothérapies.

➔ **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 traitements disponibles ne sont pas systématiquement efficaces. Nécessité de passer sur un autre traitement.
- Argument 2 : On observe parfois des effets secondaires qui imposent l'arrêt du traitement même s'il est efficace.
- Argument 3 : La totalité des traitements actuellement disponibles ne permettent pas de prendre en charge tous les patients asthmatiques sévères. Il existe de nombreux besoins non couverts justifiant l'arrivée sur le marché de nouveaux médicaments reposant sur de nouveaux mécanismes d'action.

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 :

Le médicament vient d'obtenir une AMM mais ne dispose pas encore d'un prix. Il est disponible pour l'instant dans la cadre d'un accès précoce puis d'un accès compassionnel. Les études auxquelles nous avons eu accès montrent une diminution significative du taux annualisé d'exacerbations quelques soient les phénotypes de l'asthme sévère.

- Amélioration majeure 2 :

Amélioration du contrôle de la maladie et ce quels que soient les phénotypes d'asthme sévère.

- Amélioration majeure 3:

Amélioration majeure de la qualité de vie avec des améliorations du score de St Georges aux alentours de 20 points pour une différence clinique minimale de 4 points

- 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 :

Pas d'effets secondaires graves identifiés pour l'instant. L'effet secondaire principal reste les réactions aux points d'injection du produit.

- 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 :

Répondre à des besoins non couverts chez des patients non répondeurs aux autres thérapeutiques

- Attente majeure 2 :

Efficacité chez les patients éosinophiliques ou non

- Attente majeure 3 :

Pas d'effet secondaire majeur identifié avec très bon profil bénéfice/risque mais cela est également observé avec les autres traitements par anticorps monoclonaux de l'asthme sévère

- 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 :
-

Pas d'inconvénient identifié hormis le fait de ne pas être efficace chez tous les patients asthmatiques

- **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 :** Les scores de contrôle de symptômes comme le score ACT
- **Type d'information 2 :** Les scores de qualité de vie comme le score AQLD
- **Type d'information 3 :** La fréquence du recours à la cortisone orale

- **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 ?

SF36 et St Georges sont des PROM génériques ; l'AQLQ qui est un score de qualité de vie pourrait être considéré comme un PROM spécifique.

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.

- **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 suivi dans une cohorte avec des paramètres à recueillir régulièrement est un bon moyen de collecter au mieux les informations. Cette collecte se ferait en collaboration avec un centre ayant l'habitude de prendre en charge ce type de patient

- **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 ?**

Le suivi dans un cohorte permet également d'identifier d'éventuels effets secondaires qui n'auraient pas été mis en évidence dans les études de phase III ou IIIb

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)

Le PUT-RD n'a pas été communiqué à l'association Asthme et Allergies.

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) ?**

Connaissance de la pathologie, retour des patients asthmatiques sévères au décours de chat ou des webinaires organisés par l'association, témoignages reçus au numéro vert ou lors de groupes de paroles, contact avec des experts de l'asthme sévère, mise au point régulière sur les publications scientifiques dans le domaine de l'asthme sévère

- 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 ?

Aucun retour avec ce traitement qui n'est pas encore disponible mais nombreux retours avec les autres biothérapies

- 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 ?

Pr Gilles Garcia, Président– Mr Dorian Cherioux Vice- Président Patient – Me Christine Rolland Directrice

- 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 :

Les traitements modernes de l'asthme sévère sont efficaces mais ils ne permettent pas de prendre en charge correctement la totalité des patients. Il existe encore de nombreux besoins non couverts avec de nombreux patients dont l'asthme est encore envahissant dans le quotidien et handicapant.

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 : Christine Rolland
- Fonction : Directrice
- Adresse électronique : ch.rolland@asthme-allergies.asso.fr
- Téléphone : 01 42 65 36 58

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

- Informer pour favoriser le dépistage et la prise en charge de l'asthme et des allergies
- Orienter les patients et leur entourage dans le parcours de soins
- Promouvoir et faciliter l'éducation des patients pour les aider à maîtriser leur maladie et mieux vivre avec

Principales activités :

Gestion du Numéro Vert Asthme & Allergies Infos Service et de différents sites internet via le portail www.asthme-allergies.org, organisation de webinaires et de tchats, animation d'une page Facebook et d'un fil Twitter, organisation de la Journée Française de l'Allergie, de la Journée Mondiale de l'Asthme, organisation et animation de groupes de paroles de patients asthmatiques sévères, réalisation d'enquêtes sur le vécu des patients, éditions d'outils tels que brochures, posters, vidéos et newsletter, orientation des patients, participation à différents groupes de travail de l'Assurance Maladie...

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

- Monsieur Gilles GARCIA, Docteur en Médecine, Président
- Monsieur Dorian CHERIOUX, Patient asthmatique sévère et allergique, Vice-président représentant les patients
- Monsieur Marc SAPENE, Docteur en Médecine, Vice-président
- Madame Marie Pierre RINN, Patiente asthmatique et allergique, Trésorière
- Madame Fabienne BLANCHET, Docteur en Pharmacie, Secrétaire Générale

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

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.

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 : 310 000€**

→ **Budget total de l'association pour l'année en cours : 300 000€**

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021	Santé Publique France	55000	18
	Mairie de Marseille	8000	2,6
	Alliance Apnées	10000	3
	APP	30000	10
	AstraZeneca	20000	6
	GSK	50000	16
	Chiesi	30000	10
	ALK	20000	6
	Stallergenes	32000	10
	Thermofisher	4000	1
	Protecsom	5000	1
	Hyla	6000	2
	Jazz	1600	0,5
	Rubson	10000	3
	ISIS	7500	2
	SOS Oxygene	7500	2
	Biogaran	5000	1,6
	Resmed	5000	1,6
	Novartis	2800	0,9

→ **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.