
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	12
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	13
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	15
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	16
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	16
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	16
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	17
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	17
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	17
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	18
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	18
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	19
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	20
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	20
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	22
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	23
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	24
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	25

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

La HAS dispose de toutes les données médico-scientifiques, mais ne peut pas par elle-même donner les arguments de réflexion du point de vue des patients ou usagers concernés.

C'est pourquoi vous êtes invité(e)s à contribuer aux évaluations.

La Commission d'évaluation économique et de santé publique rend un avis économique sur certains de ces médicaments. La présente contribution lui sera transmise systématiquement.

L'équipe du « service engagement des usagers » se tient toujours à votre disposition pour toute question ou échange. Contact : contact.contribution@has-sante.fr / 01 55 93 71 18.



Toutes les associations ou groupes représentant les usagers du système de santé peuvent utiliser ce questionnaire.

Vous pouvez consulter les informations publiées destinées aux associations et de patients et d'usagers sur la page internet dédiée du site internet de la HAS.

Lors des premières fois, il peut être utile de recevoir des explications : il y a toujours un interlocuteur dédié pour vous répondre, vous orienter ou échanger avec vous par mail (contact.contribution@has-sante.fr) ou par téléphone (01 55 93 71 18). C'est le service Engagement des usagers qui vous répondra : il s'agit d'une équipe qui est à votre écoute.

Pour des informations détaillées sur les principes d'évaluation des médicaments par la Commission de la transparence, vous pouvez consulter les doctrines d'évaluation [en vue du remboursement](#) et [en vue d'une autorisation d'accès précoce](#). Cette lecture spécialisée n'est pas nécessaire pour remplir ce questionnaire.

NB : pour simplifier la lecture, le masculin est utilisé dans les phrases de ce questionnaire – ceci est simplement une convention de rédaction dans le présent document. [La HAS promeut l'inclusion et l'égalité sur tous les plans, y compris de genre et de sexe.](#)

Note importante

Les questions de ce formulaire ne sont pas contraignantes. Elles ont pour but de vous orienter si vous les trouvez pertinentes.

Si vous le souhaitez, vous pouvez n'utiliser que les cadres « Autres » qui peuvent être agrandis autant que nécessaire.

Seules les questions de la partie administrative tout au début de ce questionnaire sont obligatoires

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.



Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

☒ Oui

☐ Non



Vous devez remplir cette rubrique même si vous avez coché 'non' à la question ci-dessus. Votre décision sera respectée.

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine de votre financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), sur les trois dernières années.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : 548 K €
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 510 K€
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 553 K€
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 606 K€

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
-------	--------------	-----------------	--

2019	Dons	36 K€	7%
	Partenariats industriels	217 K€	39%
	Prestations	50 K€	9%
	Fonds propres	245 K€	45%
2020	Dons	36 K€	7%
	Partenariats industriels	166 K€	33%
	Prestations	102 K€	20%
	Fonds propres	206 K€	40%
2021	Dons	59 K€	11%
	Partenariats industriels	86 K€	16%
	Prestations	81K€	15%
	Fonds propres	327K€	59%
2022	Dons	45k€	8%
	Partenariats industriels	173 K€	28%
	Prestations	76k€	12%
	Fonds propres	312k€	52%

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

amvuttra

Dénomination commune internationale (DCI) :

vutrisiran

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce :

Traitement de l'amylose héréditaire à transthyretine (amylose hATTR) chez les patients adultes atteints de polyneuropathie de stade 1 ou de stade 2

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☒ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des 'groupes', par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc. :

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Impacts psychologiques*
- *Douleur*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

– **Qualité de vie :**

Ces patients ont un avenir sombre, sans issue. Ils savent ce qui leur arrive car la plupart du temps ils ont vu leurs ascendants en mourir. Ils sont lucides sur la dégradation inexorable de leur corps.

C'est une maladie terrible décrite par les neurologues comme la neuropathie la plus dure qu'ils rencontrent. *Verbatim : « Dans cette maladie tout est grave sur tous les plans : neurologique, cardiologique, digestif, l'urinaire, l'état général... c'est la chute ! ».*

Son caractère systémique impose une prise en charge multidisciplinaire qui conduit à des consultations et examens incessants dans des services le plus souvent éloignés du domicile ce qui ajoute encore de la fatigue pour le patient et représente un poids psychologique supplémentaire.

Le caractère héréditaire ajoute un fardeau.

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

La fatigue physique est intense, en raison de la neuropathie à laquelle s'ajoute rapidement de l'insuffisance cardiaque

Les efforts nécessaires pour les gestes simples du quotidien semblent démesurés et engendrent un épuisement général. Les troubles digestifs (diarrhées incoercibles) exténuent les patients. Ces symptômes multiples qui touchent toutes les activités et aspects de leur vie accablent les patients et les amènent souvent à la dépression.

- **Activités de la vie quotidienne :**

En fonction de la sévérité des diverses atteintes et de leur progression constante, les activités de la vie quotidienne finissent rapidement par être grandement altérées, ce qui entraîne un besoin d'aide à tous les moments de la journée.

- **Mobilité/déplacement :**

En fonction de la sévérité de l'atteinte la mobilité et le déplacement peuvent être grandement altérés, et requérir un soutien extérieur, la marche est difficile et nécessite ensuite une aide canne et/ ou fauteuil roulant, l'évolution inéluctable vers le handicap rend la mobilité complexe

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

Plus de la moitié des patients hATTR **qui ont une activité professionnelle** ont dû arrêter de travailler (51,61%).

Beaucoup ont bénéficié d'arrêts de travail durant les 12 derniers mois (38,71%) plus que précédemment (19,35%).

Les arrêts de travail sont longs : 134 jours en moyenne dans l'année pour les patients TTR cardiaque mutée (de 4 à 5 mois/an)

- **Vie affective :**

La charge émotionnelle, affective et matérielle est très lourde pour accompagner des patients dans cette pathologie définitive et fatale, les aidants s'épuisent tant physiquement que moralement.

. La culpabilité de la transmission génère un stress supplémentaire pour les patients.

- **Vie sexuelle :**

Plus de 70% des patients ont enregistré une diminution importante de leur désir sexuel : impuissance pour les hommes, perte de sensibilité pour les femmes impactent lourdement la vie sexuelle des patients et la relation de couple s'en trouve perturbée ce qui vient encore alimenter le stress du patient.

- **Vie sociale :**

Un handicap inexorable bloque les patients dans leur vie quotidienne (mobilité, sorties...), s'y ajoutent la solitude et le sentiment de ne pas être compris par l'entourage.

De plus, l'impact des troubles digestifs entraîne une appréhension, et contribue à l'isolement car certains patients préfèrent éviter de prendre le risque de sortir.

Il est difficile de hiérarchiser ces impacts tous graves mais différemment ressentis selon les symptômes déclarés, selon la situation personnelle et la personnalité de chaque patient.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☒ Non

☐ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des « groupes », par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc.

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Impacts psychologiques*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les proches ou les aidants ?

¹ Parfois appelés PROMs. Les '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.

La sollicitation matérielle des aidants est très importante en termes :

- d'aide au quotidien du fait de la limitation de la motricité et de la mobilité et du fait de la fatigue intense du patient
- de soutien dans les différentes consultations et examens, leur planification et leur organisation
- pour certains, de gestion d'une personne handicapée

Elle exige une disponibilité régulière au quotidien et des journées dédiées ce qui impacte la vie professionnelle de l'aidant.

Elle génère de la fatigue décrite comme intense par nombre d'aidants.

Elle impacte le cadre de vie et l'organisation de la maison.

Au plan psychologique et affectif : devoir soutenir moralement un patient subissant tous les aspects décrits ci-dessus engendre une tension continue en présence du patient qui augmente la fatigue et peut engendrer de la dépression.

Le caractère héréditaire est un fardeau qui pèse sur toute la famille et plus spécifiquement :

- sur les aidants conjoints qui s'angoissent pour leurs enfants
- et sur les aidants qui sont issus de la famille du patients (enfant, fratrie...) susceptibles d'être porteurs du gène ou qui se savent porteurs et qui assistent à la dégradation continue que provoque la maladie

L'impact sur la vie sexuelle est partagé avec le patient par les aidants conjoints.

Face à tous ces fardeaux, beaucoup d'aidants se sentent « au bout du rouleau » tant en terme d'épuisement physique que moral.

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)



Les informations demandées ici sont importantes pour la Commission de la transparence car elle évalue les nouveaux produits comparativement aux options thérapeutiques déjà disponibles. Les avis en vue du remboursement comportent notamment une gradation du progrès thérapeutique apporté par un nouveau médicament au regard des traitements actuellement disponibles ou de la prise en charge habituelle. C'est ce que l'on appelle « l'Amélioration du Service Médical Rendu » (ASMR). L'ASMR comporte cinq niveaux allant de « absente » (ASMR V) à « majeure » (ASMR I).



Merci de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le produit évalué (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...).

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Tafamidis 20 mg, Patisiran, et Inotersen sont les traitements utilisés pour les patients atteints d'amylose héréditaire avec polyneuropathie de stade 1 et 2. selon les recommandations du PNDS.

https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2022-07/texte_pnds_ttr_final.pdf

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les retours d'expérience de Tafamidis 20mg, dont nous disposons dans cette indication, sont uniquement pour des patients de stade précoce. L'administration est simple.

Les patients sont traités ensuite par Patisiran si leur condition s'aggrave.

C'est l'efficacité qui conduit beaucoup de patients à souhaiter être traités par Patisiran, même si l'administration est plus lourde que celle des autres traitements disponibles (Tafamidis et inotersen)

ceux qui accèdent au traitement, sont effectivement satisfaits de l'efficacité de Patisiran

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Au fil du temps une plainte apparaît face à la fréquence, et la lourdeur du traitement.

Quelques verbatims :

« Toutes les 3 semaines ! ça revient vite !

Au niveau professionnel c'est compliqué, de prendre une journée toutes les 3 semaines, qui se cumule, aux journées à prendre pour les rendez-vous médicaux, les examens ... : ça devient un métier d'être malade !

Avant, je devais aller à l'hôpital toutes les 3 semaines pour ma perfusion, c'était un peu compliqué à gérer surtout avec le COVID ! maintenant, une infirmière me fait ma perfusion à la maison, c'est bien mais en même temps, il faut anticiper la commande du médicament à la pharmacie, s'assurer que tout est prêt pour l'arrivée de l'infirmière, (ma femme s'occupe de tout cela, mais c'est lourd pour elle).

J'ai déjà eu des soucis avec ma perfusion, le produit est parti en dehors de ma veine ! j'ai le bras gonflé et douloureux, horrible !

Je ne sais plus comment faire, je ne supporte pas la prémédication, je suis d'abord super excité et je ne dors pas, ensuite je suis épuisé, il me faut 2 à 3 jours pour récupérer. Donc je ne prévois rien une semaine sur trois !

Je suis inquiet des effets indésirables des corticoïdes (prémédication) à long terme

Ma maladie est stable c'est une bonne nouvelle, mais ça veut dire que je vais continuer le traitement pendant des années, je crains que mes veines ne tiennent pas le coup, en plus j'ai des prises de sang

régulières, et d'autres injections ! et j'ai déjà une peau très fragilisée, j'ai tout le temps des hématomes. »

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne couvrent pas tous vos besoins ?

Certains patients n'ont pas accès à ces traitements :

- Non répondeurs au Tafamidis
- Capital veineux obéré pour perfusion récurrente sur le long terme
- Fonction rénale à risque pour Inotersen
- Administration difficile non compatible avec une bonne observance sur le long terme

1.3. Le médicament évalué



Les catégories ci-dessous sont proposées à titre indicatif, elles peuvent être utilisées dans certaines questions. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients principaux qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
- *la qualité de vie (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 : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.*

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

Le libellé de l'indication demandée (ce qui désigne les patients concernés) par le laboratoire vous semble-t-il adéquat ? Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ? Merci de justifier votre réponse.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement remplir la rubrique « Si vous avez une expérience... » ci-dessous (§ 1.3.2).

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, ne remplir que la rubrique « Si vous n'avez pas d'expérience... » (§ 1.3.3).

Vous pouvez laisser vide l'une ou l'autre de ces rubriques.

1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)

1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :

Quelles sont les principales améliorations constatées par rapport aux traitements actuels ?



Exemples d'amélioration (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Moins d'effets secondaires, mode d'administration (sous cutanée au lieu de intra veineuse) et fréquence plus confortables

Plus d'efficacité : Amélioration de la marche, moins de troubles digestif , moins de douleurs .

Impact psychologique : la fréquence à 3 mois permet « d'oublier la maladie », sentiment de stabilité.

Verbatim : J'ai 56 ans et ma mère est morte à 44 ans, je souhaite rester stable, je suis optimiste pour mes enfants ! Avant j'étais plus souvent dans les hôpitaux qu'à la maison.

1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Quels sont les principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

Aucun inconvénient rapporté

1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



Exemples d'attentes (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Quelles sont les principales améliorations attendues par rapport aux traitements actuels ?

Amélioration majeure de la **qualité de vie du patient** et de ses aidants grâce à **la forme d'injection** : sous cutanée (versus perfusion) et à **la fréquence d'administration** tous les 3 mois (versus 3 semaines)

L'**arrêt des prémédications** et la protection des effets indésirables à court, moyen et long terme des corticoïdes

Préservation du capital veineux et accès au traitement pour des patients qui ne peuvent recevoir une forme intra veineuse

L'administration tous les 3 mois est une première étape, l'espacement des injections à 6 mois est attendu.

1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

Quelles sont les principales craintes concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

Aucune

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Quelles sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?



Cette question porte sur le caractère innovant de l'usage du produit pour lequel la demande d'autorisation d'accès précoce est demandée.

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment² sur deux points :

- l'apport d'un changement substantiel en matière d'efficacité y compris sur la qualité de vie, de tolérance, de praticité ou de commodité d'emploi ou de parcours de soins ;*
- la couverture d'un besoin médical non ou insuffisamment couvert (ex. : usage adapté pour les enfants).*

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé



Il est essentiel pendant l'accès précoce d'observer avec attention l'utilisation et les effets du médicament pour mieux le connaître et évaluer son efficacité et ses effets indésirables en « vie réelle ».

Les données relatives à l'utilisation et aux effets du médicament sont collectées auprès des patients de deux façons :

- par le médecin durant les consultations : le médecin prescripteur de ce médicament posera des questions aux patients sur l'état dans lequel ils se sentent avec le traitement ;*
- par les patients eux-mêmes entre les consultations : les patients (et/ou leurs proches dans certains cas) recevront un ou plusieurs questionnaires en ligne ou sous format papier afin de recueillir eux-mêmes des données de santé et plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.*

La façon dont cette surveillance et cette collecte de données sont organisées est décrite en détail dans un document spécifique nommé « Protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données », ou : PUT-RD.

Nous vous invitons à nous donner votre avis sur les données ou informations qu'il serait pertinent de recueillir du point de vue des patients et/ou des aidants.

² Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)



Dans cette rubrique, nous vous demandons d'exprimer les types de données ainsi que la façon de les recueillir qui sont les plus pertinentes de votre point de vue. Il n'est pas utile de mentionner les données purement médicales telles que les paramètres biologiques.

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

Quels sont les 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 évalué ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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, recueil avec l'aide d'un patient expert, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données



La soumission d'un « protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données » (PUT-RD) est une obligation légale pour le laboratoire pharmaceutique qui soumet une demande d'accès précoce. Ces données d'utilisation vont renforcer les connaissances sur le médicament en pratique clinique habituelle.

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.



Le PUT-RD n'est pas publié sur notre site. La HAS peut décider de le transmettre tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et

³ Également appelées « variables d'intérêt »

ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

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

☐ Oui

☐ Non

Avez-vous des commentaires ou des compléments relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'utilisateurs lors de l'examen de la demande.

Vous pouvez ici manifester votre intérêt pour une telle audition (en plus de cette contribution écrite).

ATTENTION : Les auditions devant la commission de la transparence sont ordinairement accordées dans le cadre des autorisations d'accès précoce ; elles sont exceptionnelles dans le cadre du remboursement.

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

Audition si jugée nécessaire par la commission d'évaluation

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que ...
- Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

Les plus grandes difficultés du vécu avec une hATTR sont de tous ordres car il est nécessaire de faire face à cette maladie grave, invalidante, hétérogène, multi-systémique, héréditaire et mortelle sans traitement. Une pathologie qui impacte tous les organes, tous les sens, et tous les aspects de la vie et dont la progression continue génère un fardeau et une angoisse énorme, constante et délétaire pour les patients et leurs familles.

Les thérapeutiques actuelles ont modifié la perspective, en apportant des traitements efficaces mais qui doivent être administrés tout **au long de la vie du patient**. Le mode d'administration et la fréquence ne doivent pas contribuer au fardeau quotidien déjà très lourd des patients et des aidants. **Les prémédications adjuvantes entraînent des effets indésirables qui doivent être éviter dans le cadre d'une stratégie thérapeutique de long terme.**

Cela génère une nouvelle hiérarchie des attentes des patients concernant les traitements. Les patients souhaitent préserver une qualité de vie et un temps de vie qui ne soit pas que dédiés aux soins et à la maladie.

Le Vutrisiran apporte une innovation très attendue par les patients, l'administration et la fréquence du traitement, ne relèvent pas du confort mais ont un impact fondamental sur l'efficacité du traitement, sur son observance et sur la qualité de vie des patients et de leurs aidants.

5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques



Si vous souhaitez compléter les informations que vous jugez utiles pour la Commission de la transparence, merci d'utiliser cette partie de façon libre.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire



Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, appels téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

Utilisation :

- des données collectées à travers tous les appels et échanges avec les patients depuis l'origine de l'association.
- des échanges avec les patients ayant une amylose héréditaire au travers des cafés virtuels que nous organisons depuis deux ans. Ce qui nous permet de mesurer des données de long terme.
- des avis et questions reçus sur notre site et sur notre page facebook,
- des échanges avec les patients.

Des questions ont été posées aux patients ayant reçu les différents traitements disponibles depuis la réception de cet avis à contribution.

Les résultats d'une enquête menée par l'association et publié dans Amyloid revue internationale dédiée à l'amylose : <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/35144512/>

Selon quelles méthodes avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement ?

Interview de patients ayant suivi un des traitements actuels et recrutés dans les essais de Vutrisiran

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Non

Pouvez-vous nous donner une estimation du temps qui a été nécessaire pour rédiger cette contribution ?

Une semaine pour la directrice plus du temps patients et bénévoles

Avez-vous rencontré des difficultés pour remplir ce questionnaire, et si oui, lesquelles ?

Changement d'échéance de la remise de la contribution et modification du modèle à remplir en cours de délai de réponse

Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

Conception du questionnaire

Ce questionnaire a été construit en collaboration avec des représentants associatifs via un groupe de travail dédié. Pour plus d'information, [cliquez ici](#).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

