
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	11
1. Questionnaire – Partie A	12
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	12
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	12
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	13
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	14
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	16
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	17
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	21
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.



Il est obligatoire de remplir la rubrique suivante pour que votre questionnaire soit pris en compte. CE VOLET DU QUESTIONNAIRE NE SERA PAS PUBLIE

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Fédération SOS Hépatites & Maladies du foie

Site internet :

<https://soshepatites.org/>

Adresse postale (le cas échéant) :

14 rue de la Beaune
Bâtiment C, 5ème étage
93100 MONTREUIL

Nature de la structure :

- ☒ Association agréée au niveau national
- ☐ Association agréée au niveau régional
- ☐ Association non agréée
- ☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau :

Membre de ELPA, European Liver Patients' Association.

Membre de France Assos Santé.

Décrivez la composition du conseil d'administration et du bureau (titres et noms des personnes) des associations agréées :

Les membres du conseil d'administration de la Fédération depuis le 25 novembre 2022 sont les suivants :

Frédéric CHAFFRAIX	Président Alsace-Lorraine
Carmen HADEY	Administrateur Alsace-Lorraine
Laurence GARBET	Présidente Bourgogne-Franche-Comté
Jacky SAINTY	Trésorier Bourgogne-Franche-Comté
Pascal MELIN	Président Champagne-Ardenne
Agnès MICHEL	Vice-Présidente Champagne-Ardenne
Eric SAILLARD	Président Guadeloupe
Joseph ABIDOS	Président d'honneur Guadeloupe
Hélène DELAQUAIZE	Présidente Paris Ile-de-France (PIF)
Michelle SIZORN	Vice-Présidente Paris Ile-de-France (PIF)
Blaga STENGER	Présidente Provence-Alpes-Côte d'Azur (PACA)

Les membres du Bureau de la Fédération, depuis le 17 avril 2021 élus pour 2 ans, sont les suivants

Pascal Mélin	Président de la Fédération
Frédéric Chaffraix	Vice-président
Hélène Delaquaize	Vice-présidente
Agnès Michel	Trésorière
Jacky Sainty	Secrétaire

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

Notre association est agréée.

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

Six associations régionales et onze délégué.e.s suivants :

SOS Hépatites & Maladies du foie Alsace Lorraine	
SOS Hépatites & Maladies du foie Bourgogne-Franche-Comté	
SOS Hépatites & Maladies du foie Champagne-Ardenne	
SOS Hépatites & Maladies du foie Guadeloupe	
SOS Hépatites & Maladies du foie Paris-Ile-de-France	
SOS Hépatites & Maladies du foie Provence-Alpes-Côte-D'Azur	
Janine ALAMERCERY	Région Auvergne-Rhône-Alpes
Gilles ATHIMON	Région Pays de la Loire
Gisèle BERTHELOT	Région Pays de la Loire

Arlette BOUVARD	Région Centre-Val de Loire
Carole DAMIEN	Région Occitanie
Danièle DESCLERC-DULAC	Déléguée nationale
Khaled FELLOUHE	Région Auvergne-Rhône-Alpes
Dominique GERARD	Région Occitanie
Michèle GUTH	Région Auvergne-Rhône-Alpes
Thomas LAURENCEAU	Région Pays de la Loire
Mathilde LECONTE	Région Nouvelle Aquitaine

Nombre de bénévoles :

579 bénévoles

Nombre de salariés :

La Fédération compte huit salariées au 31/12/2022.

Principales activités de votre association ou groupe d'usagers :

Notre réseau a pour but la prévention, l'information, la solidarité, la défense de toutes les personnes concernées par les hépatites virales et les maladies du foie, ainsi que la promotion de la recherche.

ACTIVITÉS DE L'ASSOCIATION

Le rôle de la Fédération est de :

Favoriser l'implantation régionale et transfrontalière d'associations adhérentes,
 Impulser, coordonner et soutenir l'action des associations adhérentes,
 Participer, par le biais des associations adhérentes, aux réseaux médico-sociaux existants,
 Développer tout partenariat susceptible de contribuer à une avancée de nos objectifs,
 Former les membres actifs et répondre aux besoins de formation des personnels soignants.

Personne contact pour les contributions (les données de cette rubrique ne seront pas publiées) :

– Prénom NOM :

Selly SICKOUT

– Fonction :

Directrice exécutive de la Fédération

– Adresse électronique :

direction@soshepatites.org

- Téléphone :

01 43 67 26 40 / 06 74 86 44 48



Données personnelles collectées

Les données personnelles recueillies ci-dessus font l'objet d'un traitement de données par la HAS. Elles sont à destination des collaborateurs de la HAS. Elles servent uniquement à la gestion des contributions des associations aux travaux de la HAS.

Sauf opposition de votre part, vos coordonnées seront conservées pour pouvoir éventuellement vous solliciter pour d'autres travaux de la HAS. 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 mail à l'adresse suivante dpo@has-sante.fr

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 : 1 124 232
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 379 033
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 451 368
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 638 875.05

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021	DGS	140 000	31.02%
	FNDS+CNAMTS	54 043	11.97%
	ARS	75 380	16.70%
	MAIRIE DE MONTPELLIER	1 450	0.32%
	CPAM	24 192	5.36%
	ELPA	1 000	0.22%
	POLE EMPLOI	1 315	0.29%
	DONS+COTISATIONS	2 166	0.48%
	FACTURATION DIVERS	1 575	0.35%
	GILEAD	104 262	23.10%
	ABBVIE	25 500	5.65%
	BIOSYNEX	1500	0.33%
	NEPHROTEK	1500	0.33%
	ROCHE	2000	0.44%
	INTERCEPT PHARMA	20 000	4.43%
	ECHOSENS	3000	0.66%
2020	DGS	140 000	36.94%
	FNDS	8 750	2.31%
	ARS	86 283	22.76%
	ANRS	7 000	1.85%
	CPAM	13 120	3.46%
	DRFIP BRETAGNE	2 000	0.53%
	FACTURATION DIVERS	4 029	1.06%
	GSK	10 000	2.64%
	SANOFI	400	0.11%
	INTERCEPT	30 000	7.91%
	IPSEN	5 000	1.32%
	MYR PHARMA	5 500	1.45%
	GILEAD	75 960	20.04%
	ABBVIE	15 460	4.08%
	DONS+COTISATIONS	2 014	0.53%
	CONSEIL GENERAL 93	1 000	0.26%
2019	DGS	140 000	12.45%
	CPAM	9 056	0.81%

	ARS	95 500	8.49%
	ANRS	5 000	0.44%
	MAIRE DE MONTPELLIER	1 500	0.13%
	DRFIP OCCITANIE	4 500	0.40%
	DONS+COTISATIONS	7 503	0.67%
	FACTURATION DIVERSES	14 864	1.32%
	MSD	3 000	0.27%
	ABBVIE (DON+STAND)	74 250	6.60%
	GILEAD	105 750	9.41%
	GSK	10 000	0.89%
	AGEFOS	5 169	0.46%
	ECHOSENS FORUM	3 000	0.27%
	MYR PHARMA	10 000	0.89%
	BIOSYNEX FORUM	1 500	0.13%
	NEPHROTEK FORUM	1 000	0.09%
	GENFIT FORUM	3 000	0.27%
	CEPHEID FORUM	1 500	0.13%
	JANSSEN	8 000	0.71%
	Campagne de dépistage, dont campagne bruyante (ABBVIE et GILEAD)	728 204	64.77%

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

IMJUDO

Dénomination commune internationale (DCI) :

Trémélimumab

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

Médicament en accès précoce pré-AMM dans le traitement de première ligne des patients adultes atteints d'un carcinome hépatocellulaire avancé ou non résécable.

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 ?

- Fatigue intellectuelle ou ET physique → 5*
- Activités de la vie quotidienne → 4*
- Mobilité/déplacement → 4*
- Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc. → pas d'expérience*
- Vie professionnelle – Capacité de travail → 4*
- Vie affective → 3*
- Vie sexuelle → 4*
- Vie sociale → 4*
- Impacts psychologiques → 5*
- Douleur → 4*

- *Aspects financiers → selon le contexte professionnel du patient : activité ou retraite. Pour les patients en activité, l'impact dépendant de la durée de la pathologie. Plus la maladie est longue plus l'impact financier sera malheureusement important.*
- *Autres aspects : il est prioritaire pour nous de souligner l'importance de la proposition d'éducation thérapeutique au patient pour encourager son parcours de soins et pour briser l'isolement.*

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*

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.

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

- *Fatigue intellectuelle ou physique → 3*
- *Activités de la vie quotidienne → 4*
- *Mobilité/déplacement → 3*
- *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille → pas d'expérience*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail → 3*
- *Vie affective → 3*
- *Vie sexuelle → 4*
- *Vie sociale → 4*
- *Impacts psychologiques → 4*
- *Aspects financiers → selon le contexte professionnel du patient : activité ou retraite. Pour les patients en activité, l'impact dépendant de la durée de la pathologie. Plus la maladie est longue plus l'impact financier sera malheureusement important.*
- *Autres aspects → il est prioritaire pour nous de souligner l'importance de la proposition de groupe d'échange pour les aidants.*

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.

L'hépatectomie partielle,

La chimioembolisation,

Le radiofréquence,

La radiothérapie,

La transplantation (greffe de foie),

Des thérapies ciblées : le seul médicament de thérapie ciblée qui bénéficie d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans le traitement des cancers du foie, à notre connaissance, est le sorafénib.

Soutien psychologique dans les centres de cancérologie.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Ils permettent de freiner l'évolution du cancer du foie.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les effets secondaires du sorafénib varient selon le dosage du médicament et les personnes. La prise de sorafénib peut s'étendre sur plusieurs mois et les effets secondaires s'installer dans le temps. Plusieurs effets sont susceptibles d'alterner et de varier dans la durée et l'intensité. Certains effets secondaires sont limités ou évités grâce à des traitements préventifs ou des conseils pratiques. Néanmoins, s'ils deviennent trop importants, le traitement peut être diminué ou interrompu le temps que le corps se remette, <file:///C:/Users/direc/Downloads/GUIFOIE11.pdf>.

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

Nous avons pu prendre connaissance de l'étude importante sur ce produit, importante en raison du nombre de pays, de centres et de malades inclus. Elle montre un bénéfice très notable de ce produit par rapport au sorafénib en termes de survie mais aussi d'effets secondaires.

Par ailleurs, ce produit est autorisé aux USA.

Les malades sont très en demande de toutes les innovations thérapeutiques qui améliorent leur survie et leur qualité de vie.

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 secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Nous ne connaissons pas de patient ayant utilisé ce traitement.

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 ?

Nous ne connaissons pas de patient ayant utilisé ce traitement.

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 ?

Plus d'efficacité sur la maladie, moins d'effets secondaires et une amélioration de la qualité de vie.

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 ?

Les principales craintes portent sur les conditions en vie réelle : l'efficacité sur la maladie, les effets secondaires et la qualité de vie.

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 ?

Le pronostic vital du cancer du foie est défavorable : le taux de survie nette à 5 ans est de 18 % en 2015.

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

Nous avons pu prendre connaissance de l'étude importante sur ce produit, importante en raison du nombre de pays, de centres et de malades inclus. Elle montre un bénéfice très notable de ce produit par rapport au sorafénib en termes de survie mais aussi d'effets secondaires.

Par ailleurs, ce produit est autorisé aux USA.

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).*

Nous avons pu prendre connaissance de l'étude importante sur ce produit, importante en raison du nombre de pays, de centres et de malades inclus. Elle montre un bénéfice très notable de ce produit par rapport au sorafénib en termes de survie mais aussi d'effets secondaires.

Par ailleurs, ce produit est autorisé aux USA.

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*

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

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.



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 ?

- *Fatigue intellectuelle ou ET physique → 5*
- *Activités de la vie quotidienne → 4*
- *Mobilité/déplacement → 4*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail → 4*
- *Vie sexuelle → 4*
- *Vie sociale → 4*
- *Impacts psychologiques → 5*
- *Douleur → 4*

Mais aussi :

- *Diarrhées*
- *Troubles cutanés et syndrome main-pied*
- *Chute des cheveux*
- *Réactions allergiques*

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. ?)

Combinaison de plusieurs modalités de recueil, selon le souhait du patient :

Recueil au domicile seul,

Recueil au domicile avec l'aide d'un proche,
Recueil par les proches,
Recueil au domicile avec l'aide d'un soignant,
Recueil avec l'aide d'un soignant à l'hôpital,
Recueil avec l'aide d'un patient expert.

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 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 ?

Pas de commentaire.

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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 ?

Nous pouvons être disponibles.

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 la maladie sont :

- Fatigue intellectuelle ou ET physique → 5
- Activités de la vie quotidienne → 4
- Mobilité/déplacement → 4
- Vie professionnelle – Capacité de travail → 4
- Vie sexuelle → 4
- Vie sociale → 4
- Impacts psychologiques → 5
- Douleur → 4

Malgré les thérapeutiques actuellement disponibles suivantes :

L'hépatectomie partielle,

La chimioembolisation,

Le radiofréquence,

La radiothérapie,

La transplantation (greffe de foie),

Des thérapies ciblées : le seul médicament de thérapie ciblée qui bénéficie d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans le traitement des cancers du foie, à notre connaissance, est le sorafénib.

Le pronostic vital du cancer du foie est défavorable : le taux de survie nette à 5 ans est de 18 % en 2015.

Nous avons pu prendre connaissance de l'étude importante sur ce produit, importante en raison du nombre de pays, de centres et de malades inclus. Elle montre un bénéfice très notable de ce produit par rapport au sorafénib en termes de survie mais aussi d'effets secondaires.

Par ailleurs, ce produit est autorisé aux USA.

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.

Pas d'information complémentaires.

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 téléphoniques, 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 ?

Méthodes concernant les chapitres sur l'impact de la maladie : témoignages, entretiens qualitatifs de patients atteints d'un carcinome hépatocellulaire ou de proches, appels téléphoniques et échanges de mail.

Méthodes concernant les traitements actuellement disponibles : l'expertise médicale au sein de notre association et les informations publiées par l'INCa.

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

Nous n'avons pas eu l'opportunité de recueillir l'expérience de patient avec ce traitement.

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

Administrateur Alsace-Lorraine

Président Guadeloupe

Responsable administratif et financier

Directrice de la Fédération

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

L'association n'a pas reçu d'aide extérieur pour soutenir sa contribution.

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

Plus d'une demi-journée a été nécessaire pour rédiger cette contribution.

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

Notre groupe de travail n'a pas pu échanger en la période de la fin d'année 2022, période précédée par l'organisation de notre Forum national qui s'est tenu les 24 et 25 novembre à Angers.

Les apports précieux des différents contributeurs ont donc uniquement été compilés sans pouvoir être affinés.

De plus, toujours en la période chargée de la fin d'année 2022, nous n'avons pas pu solliciter le témoignage de patient ayant bénéficié du traitement.

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

