
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	11
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	12
1.3. Le médicament évalué	13
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	13
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	14
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	14
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	14
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	15
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	15
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	15
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	16
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	16
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	18
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	19
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	19
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	21
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	22
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	23
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	24

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) :

Association Renaloo

Site internet :

www.renaloo.com

Adresse postale (le cas échéant) :

c/o Le Gymnase / 29 Bis rue Buffon / 75005 PARIS

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 :

- France Assos Santé
- EKNP

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

Présidente : Nathalie Mesny

Vice-Président : Christian Baudelot, Jean-Pierre Lacroix, Yvanie Caillé

Secrétaire Général : Jean-Marie Guion, Stéphane Percio

Trésorière : Laurent Di-Méglio, Ronan Le Quéré

Membres bureau : Marion Braks, Francis Berdah

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

8233

Nombre de bénévoles :

60

Nombre de salariés :

4

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

Renaloo est née en 2002, sous la forme d'un blog et à l'initiative d'une patiente, qui entendait témoigner et partager son expérience de l'insuffisance rénale terminale.

Renaloo est aujourd'hui une association de patients agréée, engagée dans le domaine de la démocratie en santé pour améliorer la qualité des soins, de la vie, de l'accompagnement des personnes qui vivent avec une maladie rénale.

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

- Prénom NOM :

Marion Braks

- Fonction :

Membre bureau et CA de Renaloo, contact Europe

- Adresse électronique :

- Téléphone :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



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 : 482.100€
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 534.300€
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 586.000€
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 480.000€

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2022	ARS Ile-de-France	200.000	30,3%
2022	FNDS	21.000	3,2%
2022	CNAM	70.000	10,6%
2022	Dons des particuliers	49.000	7,4%
2022	GSK	20.000	3%
2022	Sanofi	10.000	1,5%
2022	Hansa Biopharma	20.000	3%
2022	Takeda	30.000	4,5%
2022	Bristol Meyers Squibb	20.000	3%
2022	Bayer Health Care	30.000	4,5%
2022	Astra Zenaca	38.500	5,8%
2022	Roche	20.000	3%
2022	Abbott	10.000	1,5%
2022	Chiesi	5.000	0,8%
2022	BMS	15.000	2,3%
2022	Fonds de dotation Pfizer	55.000	8,3%
2022	Ex Novo	7.000	1,1%
2022	Fondation de France	1.700	0,3%
2022	Aura	700	0,1%
2022	Norsys	2.600	0,4%
2022	Prestations	35.500	5,4%

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Livtency

Dénomination commune internationale (DCI) :

Maribavir

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

Traitement de l'infection et/ou de la maladie à cytomégalovirus (CMV) réfractaire (avec ou sans résistance) à un ou plusieurs traitements antérieurs, y compris le ganciclovir, le valganciclovir, le cidofovir ou le foscarnet chez les patients adultes ayant reçu une greffe de cellules souches hématopoïétique (GCSH) ou ne greffe d'organe solide (GOS)

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 ?

Les patients qui ont des CMV résistants ont des médicaments dont certains sont néphrotoxiques ou font chuter les globules blancs.

- > Fièvre
- > Atteintes pulmonaires
- > Atteintes digestives
- > Diarrhées
- > Hospitalisations
- > Risques de décès

Des effets lourds et invalidants

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 ?

- Des effets liés au soutien de patients très affaiblis (stress, fatigue...)
- Impact sur la vie quotidienne lorsque les personnes malades sont hospitalisées > risques de déstabilisation de la vie professionnelle et familiale + risques de pertes financières
- Angoisse liée à l'importance des risques sur la santé et la survie des malades

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.

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.

Traitements antiviraux spécifiques, parfois sous forme d'injections intraveineuses

Ganciclovir

Valganciclovir

Cidofovir

Foscarnet

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les médicaments actuellement disponibles sont très efficaces et sauvent des vies

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Expérience patients :

- 3 mois de prophylaxie orale anti-CMV > virémies hebdomadaires puis 2 fois par semaine

- Au moins 2 semaines de traitement de l'infection à CMV à domicile > perfusion d'antiviraux matin et soir / pose de cathéter au cou / virémie chaque semaine

- Hospitalisation 2 semaines pour administration d'un antiviral plus fort (foscarnet) / Surveillance plus intense / Anxiété liée au changement de traitement et à la persistance du virus / Impact sur la vie quotidienne / Fatigue
- Suivi post hospitalisation : contrôle mensuel pendant 2 mois

Effets indésirables importants :

- Cidofovir et Foscarnet : néphrotoxicité > risque sur la fonction et la survie du greffon
- Gancilovir : nécessité d'ajuster certains traitements immunosuppresseurs > risque de rejet du greffon
- Chute des globules blancs liée à l'interaction avec certains traitements

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

- Néphrotoxicité qui nécessite d'ajuster les traitements anti-rejet > risque de perte du greffon
- Chute des globules blancs > risques d'infections

Besoins non couverts du fait de l'importance des effets indésirables des traitements qui eux-mêmes font naître d'autres besoins

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.

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 ?

Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte.

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 secondaires, 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 ?

Efficacité pour lutter contre le CMV (les essais montrent qu'il serait 3 fois plus efficace que les traitements actuels contre les CMV résistants)

Action multicable

Non néphrotoxique > Réduction des risques de perte du greffon

Pas de chute des globules blancs > Réduction des risques d'infection

Facilitation du mode d'administration

Facilitation de la prescription (en ville et à l'hôpital)

Bonne tolérance (incidence plus faible des neutropénies liées au traitement et des lésions rénales par rapport aux autres médicaments)

Réduction des effets indésirables conduisant à l'arrêt du traitement

Facilitation du suivi sérologique (à la maison si possible)

Sécurité du traitement

Réduction du prix pour la collectivité

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 ?

Effets indésirables observés en condition réelle d'utilisation

Défaut d'efficacité / Défaut de sécurité

Inégalité d'accès au médicament

Prescription exclusivement hospitalière

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 ?

Les patients qui ont des CMV résistants ont des médicaments dont certains sont néphrotoxiques ou font chuter les globules blancs.

- > Fièvre
- > Atteintes pulmonaires
- > Atteintes digestives
- > Diarrhées

> Hospitalisations

> Risques de décès

Des effets lourds et invalidants

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

Expérience patients :

- 3 mois de prophylaxie orale anti-CMV > virémies hebdomadaires puis 2 fois par semaine
- Au moins 2 semaines de traitement de l'infection à CMV à domicile > perfusion d'antiviraux matin et soir / pose de cathéter au cou / virémie chaque semaine
- Hospitalisation 2 semaines pour administration d'un antiviral plus fort (foscarnet) / Surveillance plus intense / Anxiété liée au changement de traitement et à la persistance du virus / Impact sur la vie quotidienne / Fatigue
- Suivi post hospitalisation : contrôle mensuel pendant 2 mois

Effets indésirables importants :

- Cidofovir et Foscarnet : néphrotoxicité > risque sur la fonction et la survie du greffon
- Ganciclovir : nécessité d'ajuster certains traitements immunosuppresseurs > risque de rejet du greffon
- Chute des globules blancs liée à l'interaction avec certains traitements

Besoins non couverts du fait de l'importance des effets indésirables des traitements qui eux-mêmes font naître d'autres besoins

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).*

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

Efficacité pour lutter contre le CMV (les essais montrent qu'il serait 3 fois plus efficace que les traitements actuels contre les CMV résistants)

Action multicable

Non néphrotoxique > Réduction des risques de perte du greffon

Pas de chute des globules blancs > Réduction des risques d'infection

Facilitation du mode d'administration (administration orale)

Facilitation de la prescription (en ville et à l'hôpital)

Bonne tolérance (incidence plus faible des neutropénies liées au traitement et des lésions rénales par rapport aux autres médicaments)

Réduction des effets indésirables conduisant à l'arrêt du traitement

Sécurité du traitement

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.



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 ?

Tolérance du médicament, notamment chez les femmes / femmes ménopausées...

Précautions liées à la grossesse

Adhésion au traitement

Interactions médicamenteuses

Interactions avec des produits cannabinoïdes ou alimentaires

Effets indésirables (néphrotoxicité, taux de globules blancs, douleurs, pertes d'appétit, nausées, troubles du sommeil, diarrhées, vie intime, prise ou perte de poids...)

Allergies

Contraintes liées à la régularité et la fréquence des prises / à articuler avec la prise des médicaments anti-rejet

Niveau d'information des patients sur le virus, la maladie, la sérologie, les traitements et les risques

Précautions en cas d'oubli d'une ou plusieurs prises / en cas de sous ou sur dosage

Impact du traitement sur le développement de la maladie

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. ?)

- Recueil par le patient sans médiation médicale, de préférence à domicile ou en ligne (sur plateforme sécurisée comme MoiPatient par exemple)

- Recueil de données patient avec des proches répondant pour le compte des patients

+ Recueil de données concernant les proches eux-mêmes

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 ?

Importance de tenir compte du niveau de complétude des données recueillies au titre du PUT-RD.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

- Constitution d'un groupe de travail incluant des patients concernés par les indications et/ou ayant fait l'expérience du virus et/ou de la maladie
- Echanges avec des spécialistes de la transplantation

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

Echanges directs avec les patients

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

Patients, transplantateurs, salariés

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 ?

20h

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

Il aurait été utile de recevoir, de la part de HAS, des données plus précises sur le médicament évalué > en l'occurrence, les données de vie réelle recueillies dans le cadre de l'accès compassionnel au Maribavir.

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'usagers 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

