

FICHE

Accès précoce aux médicaments

Questionnaire de recueil du point de vue des associations de patients et d'usagers du système de santé

8 juillet 2021

- Ce questionnaire est réservé aux associations et aux groupes d'usagers du système de santé. Les associations peuvent être agréées ou non.
- L'objectif de ce questionnaire est de recueillir le point de vue de ces associations et groupes concernant une demande d'autorisation d'accès précoce déposée par un laboratoire pour un médicament dans une indication spécifique. L'information du dépôt de cette dernière figure dans le tableau de la page « [Contribuer à l'évaluation d'un médicament](#) » sur le site de la HAS, ainsi que le motif du dépôt, l'indication précise et la date limite pour répondre.
- Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou appeler le service Engagement des usagers au 01 55 93 70 00.
- Ce questionnaire une fois rempli doit être adressé à la HAS : contact.contribution@has-sante.fr. Il est transmis aux membres de la Commission de la Transparence dans son intégralité et sera rendu public sur le site de la HAS (la partie « Informations complémentaires et liens d'intérêts » est publiée selon votre autorisation).
- Ce questionnaire est en cours d'expérimentation – Il pourra faire l'objet de modifications après une phase test de 10 dossiers.

1. Identité de l'association ou du groupe d'usagers du système de santé

Nom complet suivi du sigle*¹ : Association des myasthéniques Isolés et Solidaires les AMIS

Adresse du siège* : 4 impasse des marcassins 60520 La Chapelle en Serval

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national, association agréée au niveau régional, association non agréée ; groupe de patients ou usagers du système de santé ; autre dénomination de structure

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

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

2000 sur le forum et 1300 sur le groupe facebook

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : _____

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

Nom commercial* : Zilucoplan

Dénomination commune internationale (DCI)* : Zilucoplan

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Myasthenie Gravis

→ **Avez-vous un commentaire général à apporter sur la population ou l'indication demandée pour cet accès précoce ? Vous semble-t-elle pertinente ?**

Ce produit offre une nouvelle possibilité de traitement sur notre pathologie. La rareté des traitements

3. Impact de la maladie sur la personne concernée et ses proches

Il n'est pas utile de rappeler ce qu'est la maladie.

Décrivez ci-dessous les conséquences essentielles de la maladie sur la qualité de vie des personnes concernées ou de leurs proches et les traitements actuels lorsqu'ils existent.

Vous pouvez répondre partiellement aux rubriques concernées.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?**

- Argument 1 : Maladie imprévisible, fluctuante et rare (prévalence de l'ordre de 50 à 200 par million)
- Argument 2 : Evolution par poussée, aggravation à l'effort
- Argument 3 : Risques de décompensation respiratoire en cas de crise

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

Cette maladie, à cause de son imprévisibilité, sa fluctuation, impacte fortement sur la vie des malades et de leurs proches. Le fait que des poussées puissent survenir à n'importe quel moment de la journée limite fortement les possibilités d'une activité professionnelle et/ou sociale. La vie des aidants est également impactée par le besoin d'une assistance pour les tâches quotidiennes ainsi que pour assurer les déplacements concernant les soins et les actes des professionnels de santé (médecin, paramédicaux ...)

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

La fatigue physique et/ou intellectuelle est l'une des conséquences de cette pathologie. Elle impacte fortement sur la capacité à exercer une activité professionnelle. Dans le meilleur des cas, des aménagements d'horaire ou de condition de travail permettent à la personne malade de conserver une activité professionnelle mais, en général, l'évolution de carrière est fortement impactée voire compromise

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

- **Activités de la vie quotidienne :**

Suivant l'atteinte, nous rencontrons voire sommes parfois dans l'incapacité, des difficultés à assurer les gestes quotidiens de la vie courante comme se laver, se coiffer, préparer un repas, entretenir un foyer. Il est également difficile de simplement sortir pour se promener ou pour participer à des activités socio-culturelles

- **Mobilité/déplacement :**

La fatigue mais également l'atteinte oculaire (la diplopie et le ptôsis) limite fortement notre capacité à conduire. La plus part des personnes ont du, par exemple, changer de véhicule et passer sur une boîte automatique compte tenu de la fatigue engendrée par les manœuvres d'embrayage/débrayage fréquentes dans les embouteillages. Dans les transports en communs, si nous n'avons pas de carte de priorité (pas accordée systématiquement par les MDPH) pour une place assise, le déplacement devient un vrai marathon sans compter les escaliers et les longs couloirs d'accès aux véhicules de transport

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

Quand on est myasthénique, la capacité professionnelle est impactée par la fatigue, le besoin de faire des poses, et la nécessité de prévoir des aménagements de poste selon le type de travail. En résumé, cette pathologie est peu voire pas compatible avec des emplois physiques comme (manutentionnaire, caissière, chauffeur). En ce qui concerne les emplois dit de bureau, il est nécessaire d'avoir des temps de récupération dans la journée. La plus part du temps les myasthéniques sont contraints de choisir une solution de travail partiel qui de fait nuit à l'évolution de carrière. Les impacts de cette maladie sont importants et parfois il est très difficile de rester dans l'emploi

- **Vie affective :**

Comme toutes les maladies chroniques, elle impacte sur les relations avec ses proches et sa famille ... Le caractère invisible est un fardeau supplémentaire car il génère de l'incompréhension voire de la négation de la maladie par les proches. Il n'est, hélas, pas rare de voir des couples qui se séparent suite à l'annonce de la maladie... La charge du malade étant « insupportable » pour le conjoint.

- **Vie sexuelle :**

- **Vie sociale :**

Une maladie imprévisible et fluctuante ne favorise pas la vie sociale. Pour un Myasthénique, il est en effet difficile de pouvoir s'engager dans une activité de loisir ou associative. De même une simple soirée est une

épreuve parfois insurmontable pour le malade. En effet nous avons des problèmes de déglutition (=> lenteur au cours du repas),

Nous sommes susceptibles de faire des fausses routes.

Nous rencontrons également des difficultés pour parler, articuler et l'absence d'expression « non verbale » au niveau du visage peut faire penser à l'entourage que la personne s'ennuie.

– **Autres aspects :**

Il est, du fait de l'invisibilité des symptômes, difficile pour un parent d'expliquer à son enfant pourquoi il ne peut pas jouer avec lui...

4. Les traitements actuellement disponibles

L'autorisation pour la demande d'accès précoce prendra en compte l'existence ou non de traitements dûment autorisés et dont les objectifs et effets sont équivalents au médicament proposé en accès précoce (disponibilité ou non d'un traitement approprié).

→ **Quels sont les traitements actuels (curatifs ou palliatifs) utilisés par les personnes concernées dans l'indication mentionnée pour ce dossier ?**

Par exemple, autres médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Il convient de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le traitement pour lequel un accès précoce est demandé (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.)

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement, etc...).

Votre réponse :

A notre connaissance, il n'y a pas de traitement curatif pour notre pathologie. Seuls des traitements symptomatiques associés à une corticothérapie et/ou une immunosuppression/immunomodulation sont à ce jour proposés aux patients. Il existe également les cures d'immunoglobulines à renouveler toutes les 3 à 4 semaines en milieu hospitalier et dans certains cas des aphérèses.

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

- Argument 1 : Traitements symptomatiques ne fonctionnent pas longtemps (environ 2 à 3 h après la prise en fonction du métabolisme)
- Argument 2 : Corticothérapie au long court : les effets secondaires sont importants et mal acceptés par les patients

5. Le médicament étudié en vue d'un remboursement dérogatoire dans le cadre d'une autorisation en accès précoce

Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement (par exemple, au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur), remplir la rubrique « 5.1. L'expérience avec le médicament étudié » et expliquer la méthode avec laquelle vous avez recueilli cette expérience dans la rubrique « 8. Méthodes. »

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, remplir la rubrique « 5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié ».

La Haute Autorité de santé évaluera le caractère innovant, notamment au regard des changements substantiels que cette nouvelle modalité de prise en charge apporte aux patients. Il est important d'identifier ce qui peut constituer du point de vue des personnes un changement substantiel au regard de l'impact de la maladie sur la qualité de vie.

Les catégories suivantes sont proposées à titre indicatif. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients majeurs qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé du patient, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave*
- *la qualité de vie du patient (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives),*
- *la qualité de vie de ses proches,*
- *l'usage de ce traitement,*
- *le parcours de santé et de vie du patient*
- *autres.*

5.1 L'expérience avec le médicament étudié

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

Ne remplir cette partie que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

➔ **Quelles sont les 3 améliorations majeures qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

- Amélioration majeure 1 :

- Amélioration majeure 2 :

- Amélioration majeure 3 :

- Autres améliorations :

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

Ne remplir que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quels sont les 3 principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié identifiés par les patients, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?**

- Inconvénient principal 1 :

- Inconvénient principal 2 :

- Inconvénient principal 3 :

- Autres inconvénients :

5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié

Vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients ayant utilisé le médicament étudié, mais souhaitez donner votre point de vue sur ce médicament.

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles seraient les 3 améliorations majeures qui vous permettraient de dire que le médicament étudié vous semblerait innovant par rapport aux traitements actuels ?**

- Attente majeure 1 :

Une efficacité accrue dans la durée sur la maîtrise des symptômes

- Attente majeure 2 :

Un traitement moins contraignant... Espacement des visites à l'hôpital pour le traitement

- Attente majeure 3:

Une amélioration durable de la qualité de vie des patients.

- Autres attentes :
-

5.2.2. Vos craintes concernant le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles sont les principales craintes que soulignent les patients concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?**

- Crainte principale 1 :

Effets secondaires possibles comme par exemple, sensibilisation accrue aux infections opportunistes, cancer,

- Crainte principale 2 :

Interaction avec d'autres traitements (comorbidités)

- Crainte principale 3 :
-

- Autres craintes :
-

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

La HAS peut décider de transmettre le projet de Protocole d'utilisation thérapeutique (**sous engagement de confidentialité**) – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations **ou groupes d'utilisateurs du système de santé**. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

→ **Quels sont les 3 types d'informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement ?**

- **Type d'information 1 :** Effets ressentis positifs ou négatifs ...Effets secondaires ?
- **Type d'information 2 :** Durée des effets (Combien de temps après le traitement ? fin du ressenti ?)
- **Type d'information 3 :** Retour d'expérience sur la vie avec le traitement ...Est-ce facile ? La fréquence est-elle acceptable, Y a-t-il une amélioration significative dans la vie de tous les jours, lesquels ...La qualité de vie avec ce traitement est-elle améliorée et de quelle manière ?

→ **Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs²) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?**

- ☒ Non
- ☐ Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?

→ **Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)**

Carnet de suivi, Echange avec les soignants lors de la visite à l'hôpital, questionnaire régulier envoyé)

→ **Avez-vous un avis sur les mesures de gestion des risques qui vous semblent nécessaires et acceptables à prendre pour les patients qui recevront ce médicament ?**

Une bonne information sur les effets indésirables, un contact (équipe soignante et/ou institutionnel) pour signaler des effets indésirables et pour obtenir des réponses aux questions liées à la prise de ce traitement.

² Les PROMs : *Patient reported outcomes measures* sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

La HAS peut décider de transmettre le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'utilisateurs. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de bien vouloir renseigner la rubrique suivante.

- **Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?** (NB : le PUT-RD ne peut être communiqué qu'à des membres d'associations uniquement s'ils sont habilités à représenter l'association en tant que personne morale)

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

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

- **Selon quelle méthode avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles (§4) ?**

Expériences des membres de notre association (forums d'échanges et discussions privées sur le groupe facebook)

- **Selon quelle méthode avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement (§5.1) ? Le recueil a-t-il été réalisé par l'association, par le laboratoire ou par les deux ?**

N/A

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

- ☐ Oui
- ☒ Non

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

L'équipe d'administration de l'association

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

NON pas d'aide de ce laboratoire

9. Synthèse

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

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

Votre réponse :

Notre maladie, rare, invisible, fluctuante et imprévisible a un impact important sur la qualité de vie des patients. L'offre thérapeutique actuelle (effets secondaires de la corticothérapie, fréquence des cures d'immunoglobuline) apporte des solutions uniquement palliatives mais celles-ci sont contraignantes pour le malade.

Le RAVULIZUMAB offre une nouvelle possibilité avec une fréquence de prise nettement améliorée par rapport à ce qui existe à ce jour... En effet une prise en milieu hospitalier tous les deux mois représente une amélioration notable par rapport aux cures d'immunoglobulines (environ toutes les 3 à 4 semaines sur 2 jours).

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts (il est obligatoire de renseigner toutes les parties de cette rubrique)

➔ Souhaitez-vous que cette rubrique soit rendue publique ?

- ☒ Oui
- ☐ Non

10.1 Complément d'information sur votre association ou groupe d'utilisateurs³

➔ **Personne contact pour les contributions :**

- Nom prénom : BOULANGER Pierre
- Fonction : Président
- Adresse électronique : association.amis@myasthenie.com
- Téléphone : 06 87 77 15 42

³ Les données personnelles collectées dans le cadre de ce questionnaire (nom, prénom, adresse e-mail, n° de téléphone professionnel, fonction) servent uniquement à la gestion de votre contribution et ne sont transmises qu'à la HAS.

Elles seront conservées pendant 10 ans.

Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par courriel à l'adresse suivante : dpo@has-sante.fr.

➔ Principales activités de votre association ou groupe d'usagers :

Association loi 1901 de malades atteints de myasthénie n° W691067205, nous offrons des groupes de paroles et d'échanges entre malades et aidants ...

➔ Composition des associations non agréées et nature des groupes d'usagers

Le bureau

- **Pierre BOULANGER** Président & Trésorier
- **Do JULIEN** Vice-présidente
- **Claire JOURDAIN** Vice-présidente
- **Diane DUGARD** Secrétaire générale
- **Fleur SANCELME** Trésorière contrôle de gestion

Le conseil d'administration

- **Pierre BOULANGER**
- **Do JULIEN**
- **Fleur SANCELME**
- **Diane DUGARD**
- **Pascal GARANTIE**
- **Claire Jourdain**
- **Ludivine AUGER**



10.2 Informations sur le financement de votre structure et autres liens d'intérêts

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine d'un financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), pour l'année en cours et l'année passée.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

➔ **Budget total de l'association pour l'année passée : 4304,60**

➔ **Budget total de l'association pour l'année en cours : 4093,20**

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2020/2021	Dons personnes physiques	4040,76	93%
2020/2021	Produit financier	114,16	2%
2021/2022	Dons personnes physiques	3911,08	95%
2021/2022	Produit financier	129,54	3%

2021/2022	Projet vidéo comprendre la myasthénie	10.000 UCB Pharma 10.000 Viatris	Hors budget de fonctionnement
-----------	---------------------------------------	-------------------------------------	-------------------------------

→ Pensez-vous nécessaire de porter à la connaissance de la HAS d'autres liens qui pourraient constituer un potentiel conflit d'intérêts ?

Remerciements

Nous vous remercions beaucoup pour votre apport et votre temps passé. Ils sont importants. Votre contribution, notamment la synthèse ci-dessus, sera notamment mentionnée oralement lors de la séance de la commission.