
QUESTIONNAIRE

[Titre]

Validé par la CEESP et la CT les 8 et [Date]

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	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	20
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	22
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	23
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	25
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	26

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

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

UPLIZNA

Dénomination commune internationale (DCI) :

Inebilizumab

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

Traitement des patients adultes atteints de maladie du spectre de la neuromyéélite optique (NMOSD) qui sont séropositifs pour les immunoglobulines G anti-aquaporine-4 (IgG anti-AQP4).

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 ?

Face à l'installation rapide des séquelles graves et la prise en charge compliquée (traitements, soins hospitaliers et à domicile ...), la vie personnelle de chacun est bouleversée et la sécurité de la sphère familiale se fissure. Il ne faut pas négliger l'impact violent des effets émotionnels avec l'apparition d'un stress, l'incompréhension face à la rareté de la maladie, cette fameuse injustice du " pourquoi moi ". Un grand point à améliorer : l'annonce du diagnostic. Souvent mal faite et/ou maladroite, les professionnels de santé ont un vrai besoin de travailler cet aspect, pour les malades et les proches. La famille se sent vite démunie. Les aidants ne connaissent pas la maladie, les proches ne savent pas quoi faire. Certains s'enferment dans le déni ou la fuite, d'autres deviennent agressifs. Le malade se sent très souvent perdu, incompris et finalement seul malgré le personnel soignant. La vie sociale est bouleversée, sorties, vacances, vie culturelle, travail, relations amicales sont forcément impactés (cf troubles évoqués plus haut). Point non négligeable, les relations intimes peuvent être perturbées voire disparaître face aux poussées (baisse ou absence de libido...), sans parler des conséquences désastreuses, avec séparation et divorce, qui renforcent l'isolement.

Fatigue oculaire, maux de tête qui accentue l'état général. C'est l'impact inflammatoire sur les nerfs optiques. Grande fatigue et intenses douleurs aux membres inférieurs (sensation de pied écrasé, fourmillements incessants...).

Les enfants qui vivent l'expérience d'une attaque avec des conséquences comme la cécité, la paralysie voir le coma, subissent un impact violent qui engendre une rupture avec leur corps et la question de comment se construire après une telle expérience. Cela impacte et perturbe leur état émotionnel et physique sans parler de la rupture de leur vie (scolaire, sociale...).

La violence des attaques, rappelons que les attaques sont rapides, violentes, aiguës et invalidantes. Donc l'impact c'est une longue hospitalisation en service de neurologie suivie entre 3 à 24 mois en rééducation (en hospitalisation complète). Exemple : Un jeune homme de 23 ans qui a eu une attaque, il est en hospitalisation depuis 3 ans, il ne marche pas et ne parle pas. Autre exemple : Une femme de 50 ans en rééducation complète avec des allers retours en service neurologie et avec des attaques successives (perte de la vue et paraplégie). L'impact physique : recours à des aidants et à des structures adaptées qui a fait largement défaut pendant la période du Covid-19. Recours à des thérapeutiques pour soulager les douleurs, voir hospitalisation pour recevoir des thérapeutiques en intraveineuse suite à l'échec des traitements classiques par voie orale (anti douleur).

Pour ceux qui rentrent chez eux, les patients sont confrontés à l'isolement. En raison de la survenue rapide d'handicap, il persiste un temps assez long avant de pouvoir mettre en place l'accompagnement nécessaire aux malades tant les troubles sont diverses, invalidants, mal connus, mal perçus et parfois peu nommés. Par exemple, il y a des personnes malvoyantes et/ou paraplégiques dont leur état se dégrade rapidement et l'accompagnement n'a pas encore été mis en place. L'absence de thérapeutique confronte les malades au recours sur le long terme à des allers retours en service neurologique pour recevoir des bolus de cortisone et/ou de la plasmaphérèse afin de contrôler la récurrence des poussées. Sans thérapeutique, pas de contrôle des poussées et pas de possibilité d'entrer dans un processus de rééducation ; ce qui entraîne le retard du processus pour apprendre à vivre avec un ou plusieurs déficits. Pas de thérapeutiques, trop d'attaques et de poussées et pas de chance pour continuer à vivre.

La mobilité en générale est compliquée voir quasi nulle pour les patients selon leur état.

Il faut accepter le changement de sa vie afin d'accepter le changement dans le lieu de vie.

Elle est complètement entravée car il faut tout réaménager son lieu de vie.

Cela engendre parfois un changement de domicile (déménagement) voir un placement en structure.

Par exemple, pour les enfants, cela peut engendrer un éloignement de la famille.

Dans tous les cas, les patients sont confrontés à un bouleversement tragique en peu de temps de leur vie (éloignement de la famille/amis) et de leur lieu de vie.

La réadaptation du poste de travail ainsi que la révision de la durée du temps de travail sont quasi obligatoires. Et trop souvent un classement en inaptitude est déclaré aux malades.

La dégradation majeure de la qualité de vie et de l'estime de soi s'accompagne d'une perte de chance dans la vie professionnelle comme personnelle.

La vie affective est fortement impactée, les malades ne reconnaissent plus leurs proches et les proches ne reconnaissent plus leur proche malade.

Conséquences : séparation, divorce, solitude.

Point non négligeable, les relations intimes peuvent être perturbées voire disparaître face aux poussées (baisse ou absence de libido...), sans parler des conséquences désastreuses, avec séparation et divorce, qui renforcent l'isolement.

La vie sociale est bouleversée, sorties, vacances, vie culturelle, travail, relations amicales sont forcément impactés (cf troubles évoqués plus haut).

Que ce soit chez l'enfant, l'étudiant, le jeune adulte, l'actif, les jeunes retraités ou les seniors, tous sexes et toutes catégories socio-professionnelles confondus, la maladie a de graves répercussions humaines et financières pour tout le monde sans exception. Elle peut vous isoler du jour au lendemain en raison de la gravité des attaques et de tous les troubles moteurs et sensoriels décrits. La dégradation majeure de la qualité de vie et de l'estime de soi, s'accompagne d'une perte de chance dans la vie professionnelle comme personnelle. L'aspect qui pose le plus de difficultés est l'errance diagnostique car elle allonge le temps avant le " bon " diagnostic... La confusion avec la SEP et d'autres maladies touchant le SNC est une perte de chance majeure avec les conséquences désastreuses décrites ci-dessus. Nous vous laissons imaginer la vie d'une personne ayant perdu la vue subitement et qui ne se voit plus dans son miroir....

Malheureusement, le soutien et l'accompagnement de ces malades est difficile à mettre en place en raison de la multitude des troubles. Exemple : La rééducation d'un malvoyant en centre spécialisé va prendre 3 fois plus de temps en raison de la fatigue chronique et de la faiblesse du patient. Un malvoyant de la neuromyéélite optique est à considérer comme un malvoyant avec un handicap rare dont le processus de rééducation prend plus de temps lié aux différents troubles et nécessite de retourner plusieurs fois en formation en raison de la dégradation de sa malvoyance.

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 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.

1.1.2. 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 ?

Que ce soit chez l'enfant, l'étudiant, le jeune adulte, l'actif, les jeunes retraités ou les seniors, tous sexes et toutes catégories socio-professionnelles confondus, la maladie a de graves répercussions humaines et financières pour tout le monde sans exception. Elle peut vous isoler du jour au lendemain en raison de la gravité des attaques et de tous les troubles moteurs et sensoriels décrits. La dégradation majeure de la qualité de vie et de l'estime de soi, s'accompagne d'une perte de chance dans la vie professionnelle comme personnelle. L'aspect qui pose le plus de difficultés est l'errance diagnostique car elle allonge le temps avant le " bon " diagnostic... La confusion avec la SEP et d'autres maladies touchant le SNC est une perte de chance majeure avec les conséquences désastreuses décrites ci-dessus. Nous vous laissons imaginer la vie d'une personne ayant perdu la vue subitement et qui ne se voit plus dans son miroir....

Malheureusement, le soutien et l'accompagnement de ces malades est difficile à mettre en place en raison de la multitude des troubles. Exemple : La rééducation d'un malvoyant en centre spécialisé va prendre 3 fois plus de temps en raison de la fatigue chronique et de la faiblesse du patient. Un malvoyant de la neuromyéélite optique est à considérer comme un malvoyant avec un handicap rare dont le processus de rééducation prend plus de temps lié aux différents troubles et nécessite de retourner plusieurs fois en formation en raison de la dégradation de sa malvoyance.

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.

Il s'agit des spectres d'un trouble de la neuromyéélite optique (NMO SD), un ensemble des maladies donc des profils de patients différents dont le traitement dépend des symptômes cliniques.

Il y a des traitements qui sont utilisés hors AMM tels que les immunosuppresseurs ((rituximab, azathioprine, mycophénolate mofétil).

Il existe également des traitements biologiques ayant une AMM : SOLIRIS (eculizumab) et ENSPRYNG (satralizumab) qui a obtenu une AMM mais qui n'est pas encore remboursé

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le seul avantage qu'on lui connaît est d'augmenter l'arsenal thérapeutique face à une maladie grave.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les traitements actuellement utilisés sont majoritairement hors AMM, notamment, le RITUXIMAB qui est le plus utilisé. Leur efficacité n'a pas été évaluée au cours d'essai clinique dans l'indication.

S'agissant des troubles du spectre de la neuromyéélite avec diversités des profils patients qui réagissent différemment au traitement administré avec une persistance de poussée (constituant une urgence absolue de traitement) malgré leur mise sous traitement. Il existe donc un besoin de traitement nouveau avec différents modes d'action afin d'enrichir l'arsenal thérapeutique actuel.

La poussée en NMO SD a des conséquences graves pour le patient. Il se retrouve souvent avec une accumulation de handicap visuel et moteur avec une perte d'autonomie pour plus de la moitié des patients en NMO SD. Comme recommandé par le PNDS, la prévention de la poussée constitue un enjeu majeur de la NMO SD. Les traitements actuellement disponibles ne permettent pas de prévenir les poussées de manière durable, les patients sont souvent en échec de ces traitements sans oublier les effets indésirables pouvant survenir. Il persiste donc un besoin de disposer de traitement avec une action rapide et durable.

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

Ils ne permettent pas la guérison totale.

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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

La régression rapide de l'attaque inflammatoire.

Le contrôle des poussées.

La réduction et surveillance des effets secondaires.

Favoriser le parcours patient en ETP dès induction du traitement.

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 ?

L'absence de communication et accompagnement auprès des patients qui doivent aborder un nouveau traitement, faire face à de nouvelles thérapeutiques.

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 ?

Cf commission de la transparence 2022 Souad Mazari

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

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).*

Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte.

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



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

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

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

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

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

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



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

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

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

Les patients doivent d'abord recevoir une double annonce diagnostique, une brochure, un accompagnement psychologique, un accompagnement socio administratif. Ils doivent pouvoir échanger avec des patients experts et ressources, s'approprier la maladie est une étape difficile et longue. Éduquer le patient est la mission de l'association NMO France afin de les accompagner à être acteur, pouvoir rester ainsi le sujet principal de leur parcours de soin et apprendre à s'auto évaluer dans le risque des récives de la poussée ou dans la surveillance de quelconque effets secondaire liés au traitement.

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. ?)

L'éducation thérapeutique du patient qui doit se déployer de façon urgente sur tout le territoire national auprès des centres de ressources et de compétences. Nous attendons également des réunions d'accompagnement et de soutien avec les professionnels de santé pour accompagner cette prise en charge.

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.

³ Également appelées « variables d'intérêt »



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 ?

non

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 ?

Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte.

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.

Exemple de G, un patient NMO de 50 ans. G a repris le travail depuis peu, mais les lésions neurologiques provoquées par la dernière poussée ont affecté sa vessie, il a perdu sa capacité à la vider totalement. Conséquence: une réelle contrainte quotidienne avec les auto-sondages 8 fois par jour qui sont en plus douloureux. Il souffre aussi de brûlures mictionnelles, sans parler des risques d'atteintes rénales. G décrit également des troubles similaires au niveau du sphincter anal, ainsi que des troubles de l'érection. La vie sociale, le travail et la vie de couple de ce papa de deux enfants se sont très fortement dégradés. L'estime de soi est violemment impactée.

Autre exemple : Un jeune homme de 23 ans qui a eu une attaque, il est en hospitalisation depuis 3 ans, il ne marche pas et ne parle pas.

Autre exemple : Une femme de 50 ans en rééducation complète avec des allers retours en service neurologie avec des attaques successives (perte de la vue et paraplégie).

Autre exemple d'une femme de 40 ans : Ce soir, j'ai peur et j'ai tout plein de « Et si ... » dans la tête. Et si je fais une récurrence de névrite, je vais perdre la vue jusqu'où cette fois-ci ? Et si je suis incapable de retourner au travail à cause de la lumière qui est devenue ma pire ennemie ? Et si ma vue se dégrade tranquillement mais sûrement jusqu'à la perdre totalement ? Et si je n'arrive plus jamais à conduire le soir ? Et si et si et si ... un jour à la fois. Comment faire pour rester positif ?

Autre exemple d'une femme de 35 ans, 3 enfants. Travaille dans le domaine de la santé.

Sa vie a basculé en 2020. Suite à plusieurs jours de douleurs à l'œil gauche et une perte de plus en plus importante de la vision, elle consulte en ophtalmologie. On lui diagnostique une névrite optique. Dès le lendemain, IRM cérébrale et elle commence des bolus de corticoïdes. Les bolus sont très efficaces car elle récupère totalement. On lui donne un rdv 1 mois après avec une neurologue. Elle entame un arrêt de travail car à ce moment-là c'est le premier confinement et les médecins ne veulent pas qu'elle attrape la Covid-19.

Le rendez-vous avec la neurologue a lieu, et là, ça se passe très mal, elle découvre qu'elle a une NMO SD. On lui explique très peu les choses, son devenir... Elle a pleins de questions car à 35 ans, elle a encore des projets d'enfants etc. Elle rentre chez elle dans un état d'angoisse intense.

Elle choisit d'aller consulter un autre neurologue, cette consultation se passe très bien, elle tombe sur une personne très humaine qui lui explique la maladie, qui lui refait faire les examens... Suite à cela, on lui explique qu'elle a probablement une forme non récidivante. La voilà soulagée.

Elle décide alors avec son compagnon de faire un 3ème bébé.

Pendant presque 2 ans, elle a vécu pratiquement sans penser à la maladie.

Et puis, il y a 4 semaines, la douleur bien spécifique réapparaît, de plus en plus importante avec une baisse de l'acuité visuelle. Elle contacte son neurologue. Elle file aux urgences ophtalmologique pour

faire le point. Résultat, perte quasi totale de la vue au niveau de l'œil gauche (10/10 habituellement et là 0,5/10).

Avant de commencer les bolus, son neurologue lui fait faire une prise de sang à la recherche d'une infection et un Test PCR Covid-19 car son fils a le covid et qu'elle n'avait pas pris plus de précaution. Il s'avère qu'elle est positive à la Covid-19. Dans cette situation, les médecins ne veulent pas lui faire des bolus de corticoïdes mais décident de lui faire des échanges plasmatiques. Elle est donc hospitalisée en réanimation neuro pour les échanges car ils ne peuvent pas se faire en ambulatoire à cause de la Covid-19.

L'hospitalisation est très difficile. On doit lui poser plusieurs cathéters centraux car impossible de la piquer. Elle a finalement des bolus de corticoïdes qu'elle a du mal à supporter... Elle est loin de ses enfants...

Elle finit par avoir une thrombose au niveau du cathéter.... Donc en plus de la maladie, elle se retrouve avec un traitement pour la thrombose...

Elle sort pour rentrer chez elle et 24h après, elle appelle le SAMU car elle a énormément de palpitations. Elle est en train de faire la complication de la thrombose, l'embolie pulmonaire...

Elle est marquée physiquement et psychologiquement par cette seconde poussée.

Elle a commencé un premier traitement depuis 8 jours maintenant.

Elle le tolère pas très bien, fatigue intense, baisse de l'hémoglobine et inconfort digestif... Elle vient d'envoyer un mail à son neurologue pour lui en faire part.

Nous demandons à la commission de transparence de noter dans son avis l'importance de l'accompagnement.

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.

Nous demandons à la commission de transparence de noter dans son avis l'importance de l'accompagnement.

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 ?

La présidente de l'Association NMO France est malvoyante. Les bénévoles sont des malades. Donc, NMO France a recours à une assistante administrative.

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

Par des groupes de soutien sur les réseaux sociaux gérés par l'Association uniquement.

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

L'Association NMO France et soutien à la rédaction (assistante administrative)

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 ?

2 jours

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

non

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

