

---

QUESTIONNAIRE

# Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament pour  
une demande d'autorisation  
d'accès précoce

# Sommaire

---

|                                                                                                                              |           |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| <b>Introduction</b>                                                                                                          | <b>3</b>  |
| <b>NOTE IMPORTANTE</b>                                                                                                       | <b>4</b>  |
| <b>Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.</b>                                               | <b>5</b>  |
| <b>Médicament sur lequel porte cette contribution</b>                                                                        | <b>9</b>  |
| <b>1. Questionnaire – Partie A</b>                                                                                           | <b>10</b> |
| 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               | 15        |
| 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                                                  | 16        |
| <b>2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)</b>                                                      | <b>17</b> |
| 2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce                                                | 17        |
| 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        |
| <b>3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition</b>                                                                      | <b>21</b> |
| <b>4. Questionnaire – Partie D : Synthèse</b>                                                                                | <b>22</b> |
| <b>5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques</b>                                                                    | <b>23</b> |
| <b>6. Questionnaire – Partie F : Méthodes</b>                                                                                | <b>24</b> |

# 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](mailto: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](mailto: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 française des patients atteints de maladies du mastocyte (mastocytoses, syndromes d'activation mastocytaire) - ASSOMAST

### Site internet :

<https://assomast.org/>

### Adresse postale (le cas échéant) :

53 avenue des Ternes – 75017 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 :

Alliance Maladies Rares

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

Clarisse, co-présidente

Amélie BEAUX, co-présidente

Xavier Leroux, secrétaire de l'association

**Composition des associations non agréées et nature des groupes d'usagers :**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

106

**Nombre de bénévoles :**

6

**Nombre de salariés :**

0

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

L'association ASSOMAST a été créée en vue de représenter et défendre les intérêts des patients atteints de mastocytoses et de syndromes d'activation mastocytaire auprès de tous les acteurs de la santé (Assurance Maladie, mutuelles, professionnels de santé, etc.).

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

– Prénom NOM :

Clarisse PEAN

– Fonction :

Co-présidente

– Adresse électronique :

Assomast.fr@gmail.com

– Téléphone :

0672156138



*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](mailto: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 : 300
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 600
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 600
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 600

Tableau 1 : Sources de financement

| Année | Organisation      | Montant (euros) | Pourcentage du budget pour l'année concernée |
|-------|-------------------|-----------------|----------------------------------------------|
| 2023  | Dons et adhésions | 2330            |                                              |
| 2022  | Dons et adhésions | 2257            |                                              |
| 2021  | Dons et adhésions | 2121,01         |                                              |
| 2020  | Dons et adhésions | 407             |                                              |
|       |                   |                 |                                              |



# Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

AYVAKYT

Dénomination commune internationale (DCI) :

Avapritinib

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

Traitement de patients adultes atteints de :

- Mastocytose systémique agressive,
- Mastocytose systémique associée à un néoplasme hématologique (SM-AHN),
- Leucémie à mastocytes (MCL),

après au moins un traitement systémique, et/ou après échec ou intolérance à la **Midostaurine**.

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 ?**

De la fatigue intellectuelle ou physique pour 25 % des patients

Des difficultés dans les activités de la vie quotidienne pour 25 % des patients

Des difficultés dans la mobilité / les déplacements pour 25 % des patients

Des impacts psychologiques pour 25 % des patients

Ce ne sont pas toujours les mêmes 25% qui rapportent des difficultés.

Certains patients nous signalent qu'ils auraient du mal à choisir entre les différentes propositions car toutes leur parlent

La maladie a des répercussions sur des aspects financiers pour 50 % des patients,

Des répercussions sur le moral pour 50 % des patients

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients<sup>1</sup> 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 ?

Ils rencontrent des difficultés à gérer le quotidien du malade

Ils doivent mettre en place une autre organisation de vie

Ils se sentent dépassés et ont peur au quotidien

<sup>1</sup> 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.**

Medrol, Allopurinol, Aciclovir, Cetirizine, Bisoprolol, Pantomed, Bactrim, Dafalgan Forte, Oxynorm, Levocetirizine, Pariet, Polaramine, Montelukast, Xolair, Ebastine, Bactria, Zelitrex, Oracilline, Speciafoldine, Inexium, Uvedose, Zarzio, Omeoprazole, Xyzall, Tramadol

Traitement oral et injectable pour le Zarzio

perfusions de Biphosphonate.

kinésithérapie 1 à 2 fois par semaine

**Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?**

Pouvoir bénéficier d'une meilleure qualité de vie

**Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?**

J'ai pris de la Midaustorine pendant 5 ans, ma tryptase est descendue au début puis n'a fait que monter avec une réapparition des effets de la maladie. Elle m'a fait vomir pratiquement pendant 1 an puis ensuite cela me donnait des nausées pendant 1 h environ après la prise.

Epistaxis mais depuis cautérisation quasiment inexistantes

Certains patients nous remontent ne pas avoir d'inconvénients avec les traitements actuellement disponibles.

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

Présence encore des manifestations des maladies

### 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.*

Meilleure qualité de vie, moins de fatigue, meilleur appétit et stabilisation de la mastocytose

Un seul comprimé à prendre par jour

Régression de l'abdomen,

Une nette diminution de la tryptase passant de 260 à 26 en 3 semaines et 6 semaines après je suis à 14

Ce traitement que je prends depuis Novembre 2022 avait également agi sur les taches que j'aies (corps et visage) surtout au niveau du visage

En dehors de la baisse de la tryptase, pour le moment je pense sur c'est encore tôt pour me prononcer (Cela fait presque 3 mois que je le prends).

Je prends l'Avapritinib depuis le mois de Novembre 2022. Je me sens mieux. Et surtout, je n'ai plus fait de crise aiguë de Mastocytose depuis 5 mois alors qu'avec le MIDOSTAURINE j'étais transportés aux URGENCES pratiquement tous les mois ces deux dernières années.

J'ai repris du poids et je ressens moins de fatigue.

J'ai une meilleure qualité de vie, mon énergie a augmenté et je présente une meilleure tolérance au traitement

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

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

Je constate un gonflement du visage et en particulier des poches sous les yeux, une très grosse fatigue (encore plus qu'avec la Midaustorine). J'ai besoin de dormir d'avantage, ce qui m'entraîne une hypersensibilité et émotivité.

J'arrive à continuer mon sport en adaptant à mon état de fatigue au jour le jour.

Problèmes de concentration, des absences dans la mémoire.

Avec l'Avapritinib, j'ai fait au début du traitement, une hémorragie à l'œil. Je ne sais pas si c'est lié à l'Avapritinib puisque j'avais également fait une hémorragie en 2020 et j'étais sous Midostaurine.

Faire des prises de sang toutes les semaines, légère contrainte de la prise 1 heure avant repas

### 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 ?**

##### **Les principaux aspects que ce médicament doit impérativement favoriser :**

L'état de santé, la guérison, la durée de vie, pour 75 % des patients

La qualité de vie, pour 25 % des patients

100 % des patients interrogés attendent plus d'efficacité

##### **Autres aspects :**

La stabilisation de la maladie

Une qualité de vie « normale »

Les patients savent qu'ils ne guériront pas mais ils souhaitent essayer de vivre le plus longtemps possible auprès de leurs proches.

Moins d'effets secondaires, plus d'efficacité, fréquence ou mode d'administration plus confortable

Guérir la maladie

#### 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 ?**

J'ai peur que en traitant un côté, cela dérègle un autre côté ; j'ai beaucoup de mal à me projeter.

Les effets secondaires du médicament.

## 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 ?**

C'est une maladie invalidante dans le quotidien. On m'a prise pour une « folle » comme si j'inventais, et une impression de toujours être malade, entre les allergies, les chocs anaphylactiques, les douleurs osseuses, articulaires, de multiples tendinites, des calcifications, des problèmes digestifs. Le jour où l'on a pu mettre un nom sur la maladie cela m'a « rassurée » et donne de l'espoir pour guérir ou s'en approcher, pour se sentir mieux.

J'avais perdu beaucoup de poids, asthénie et diarrhées importantes

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

Je pense que grâce aux différents traitements il y a eu des améliorations, il y a du positif et négatif avec les effets indésirables mais c'est déjà une avancée

**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 notamment<sup>2</sup> 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).*

Pour 66.7 % des patients, le médicament étudié semble innovant par rapport aux traitements actuels par l'apport d'un changement substantiel en matière d'efficacité.

Pour 33.3 % des patients, il est innovant en ce qu'il permet un apport substantiel sur la qualité de vie.

## **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 ;*

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

- 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 ?**

Personnellement je suis bien encadrée au niveau des médecins. Ils restent toujours accessibles pour répondre à nos questions et pour les effets indésirables. De savoir que je peux les contacter me rassure. Ils m'ont bien expliqué qu'il y avait des effets indésirables et je peux les contacter au plus vite s'il y avait des saignements, ou problèmes neurologiques...

**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. ?)**

Avec un soignant ou un patient expert

Recueil par une combinaison de plusieurs modalités

### 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 fin<sup>3</sup>.*



*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](mailto: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

---

<sup>3</sup> 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 ?**

Les maladies restent extrêmement fatigantes pour nous tous. Nous aimerions que les choses avancent sans que nous ayons toujours l'impression de devoir nous battre.

## 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.*

La gestion avec son entourage, dans la vie au quotidien,

La difficulté pour la reconnaissance en ALD,

Le non remboursement des transports à Paris,

Beaucoup de frais au début de la maladie.

Gérer les crises aiguës de mastocytose. Je me retrouvais tous les mois aux URGENCES et j'avais beaucoup de mal à me remettre psychologiquement. Depuis que je prends ce nouveau traitement je n'ai plus fait de crise depuis 5 mois et demi et j'espère que cela va durer.

L'asthénie, la perte de poids, la gêne engendrée par un abdomen proéminent, les diarrhées.

La mauvaise qualité de vie ainsi que les effets néfastes de la maladie

Avec l'Avapritinib, Je n'ai plus ces gênes et cet inconfort

Les thérapeutiques (autres que Avapritinib) sont inadéquates parce que insuffisantes et sans effets positifs sur la maladie.

Avec l'Avapritinib, je reprends ma vie en main et je refais des projets. J'ai moins l'impression d'être un fardeau pour mon entourage.

Le traitement répond à mes besoins car il est efficace.

## 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.*

J'espère avoir été suffisamment explicite car les questions sont parfois difficiles à comprendre.

Je voulais témoigner de ma gratitude aux chercheurs, aux médecins spécialistes de cette maladie et aux médecins qui me suivent régulièrement, avec tant d'empathie et de bienveillance.

Dans mon cas (mastocytose systémique agressive), l'Avapritinib est efficace et me permet d'avoir une qualité de vie au quotidien.

## 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 ?**

Synthèse du questionnaire envoyé sous format informatique « Google Form » à un échantillon de patients, ou bien rapport direct des verbatims des malades.

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

Questionnaire envoyé sous format informatique « Google Form » à un échantillon de patients

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

Sylvie MESSMER, Assistante de l'Association ASSOMAST, et Clarisse PEAN, co-Présidente de l'Association ASSOMAST

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

Soutien des médecins qui ont bien voulu nous confier un échantillon de patients d'accord pour répondre au questionnaire

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

20 h

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

Oui, les questions sont longues, demandent un gros travail de synthèse



## 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](http://www.has-sante.fr)

---

