
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	14
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	15
1.3. Le médicament évalué	16
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)	17
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	17
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	18
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	18
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	18
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	18
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	20
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	20
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	21
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	22
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	22
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	24
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	25
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	26
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	27

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 :

HEMLIBRA

Dénomination commune internationale (DCI) :

EMICIZUMAB

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

Hemlibra est indiqué en prophylaxie pour prévenir les épisodes hémorragiques chez les patients atteints d'hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII) sans inhibiteur anti-facteur VIII qui ont une forme modérée (FVIII = 1% et = 5%) avec un phénotype hémorragique sévère et présentant des difficultés d'accès veineux. Hemlibra peut être utilisé dans toutes les tranches d'âge.

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 ?

L'indication ici correspond aux patients atteints d'hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII) sans inhibiteur anti-facteur VIII qui ont une forme modérée (FVIII = 1% et = 5%) avec un phénotype hémorragique sévère

Ce phénotype hémorragique correspond en de très nombreux points à l'hémophilie A sévère sans inhibiteur (FVIII < 1%). En effet la classification en hémophilie sévère-moderée-mineure correspond à un dosage biologique mais ne correspond pas au phénotype. L'hémophilie modérée peut correspondre soit à un phénotype sévère soit à un phénotype mineur. Ainsi, la communauté emploie que très rarement la description clinique d'un profil type « modéré ».

Ainsi, deux contraintes importantes sont présentes pour les hémophiles A qui ont une forme modérée sans inhibiteurs :

- La courte durée d'action des traitements **nécessitant des injections répétées**
- Une voie d'abord intraveineuse.



L'impact sur la qualité de vie des patients varie selon l'âge.

Enfance et adolescence : un impact social important

Diagnostic et traitements

Selon le rapport 2021 de FranceCoag le diagnostic d'hémophilie A modérée pour 47% des cas se fait avant l'âge des 18 mois. Sur les 100% des diagnostics, 42% des dépistages se font suite à des antécédents familiaux et 45% des dépistages se font suite à un épisode hémorragique. Dans un cas sur trois des personnes diagnostiquées il n'existe pas d'antécédents connus dans la famille.

Pour les phénotypes les plus sévères, est mis en place un traitement préventif visant à éviter les saignements nommé prophylaxie. Les accidents hémorragiques (saignement articulaire : hémarthroses et hématomes) peuvent être présents malgré les traitements. La prophylaxie est recommandée pour toute la population pédiatrique ayant un phénotype sévère.

Les schémas de traitement vont de 1 à 3 injections intraveineuses par semaine.

Pour les phénotypes moins sévères, un traitement à la demande est appliqué en cas d'accident hémorragique ou d'intervention chirurgicale.

Le choix de mise en place d'une prophylaxie dépend d'une décision partagée entre le médecin spécialiste, le patient et son entourage.

L'accès veineux pour les jeunes enfants pose un problème. La répétition dans le temps rend l'abord difficile pour les enfants. Les oppositions des enfants aux injections sont considérées comme un enjeu majeur pour l'AFH et des professionnels de santé.

Enjeux psychosociaux

L'intégration scolaire est, en principe, normale si elle est préparée. Certains enfants rencontrent des difficultés, notamment des refus de prise en charge liées aux représentations de l'hémophilie par les encadrants : enfants non acceptés en cantine scolaire, en voyage scolaire, aux enseignements d'éducation physique, en club de sport.

Certains parents préfèrent arrêter leur activité professionnelle pour élever leurs enfants.

Au moment de l'adolescence, la lourdeur du traitement, la remise en question / le déni de la maladie chronique et le regard des autres mènent les adolescents à des relations conflictuelles et à une construction de soi perturbée. C'est à ce moment que certains refusent le suivi médical et la prise de traitements conduisant à un risque pour la santé important.

Adultes : apprendre à gérer les aléas de santé

La répétition des accidents hémorragiques articulaires ainsi que des micro-saignements invisibles mène à des troubles fonctionnels majeurs dits arthropathies. Vers 30 ans un certain nombre de patient présente au moins une atteinte articulaire. Cela se traduit par des douleurs chroniques, des difficultés de marche, une forte consommation d'antalgiques et d'anti-inflammatoires. Cependant, la pose de prothèse de genou ou de cheville est moins répandue dans la population hémophile A sans inhibiteur modérée que la population sévère hémophile A sans inhibiteur avant l'âge de 40 ans. De nombreux patients n'ont pas connu d'accidents hémorragiques au cours de l'enfance mais présentent des atteintes articulaires adultes liés à des micro-saignements. Le défi de demain sera de contrôler ces micro-saignements. Des études démontrent que pour ne pas avoir de saignement spontané dans les articulations il est nécessaire de maintenir un taux de facteur de VIII supérieur à 15%.

Bien que la Reconnaissance en Qualité de Travailleur Handicapé (RQTH) permette le maintien en emploi, la multiplication des arrêts de travail peut mener à une précarisation de l'emploi et des reconversions professionnelles pour une partie des personnes concernées.

Néanmoins, la qualité de vie sous les traitements actuels permet à ces personnes de construire une famille et d'avoir des enfants.

Seniors : des pathologies du vieillissement difficile à prendre en soin

Une grande partie des plus de cinquante ans vivent avec des comorbidités associées : VIH et / ou VHC le plus souvent guéri mais qui laisse des séquelles importantes.

Les atteintes articulaires mènent à des troubles de sédentarité : surpoids, diabète et troubles cardio-vasculaires.

Les troubles cardio-vasculaires nécessitant des interventions chirurgicales lourdes. Elles posent un défi pour la régulation de la coagulation durant le temps opératoire et post-opératoire.

A tout âge : un impact fort du mode d'injection intraveineux

La difficulté de la répétition des injections tout au long de la vie est lourde à supporter. 35% de l'ensemble de hémophiles modérés sont sous un régime prophylactique et 65% sous un régime à la demande.

A ce jour, il n'existe que la voie intra-veineuse comme voie d'abord. Elle est ressentie comme un frein au suivi à long terme de la prophylaxie voir mène à des arrêts de traitement.

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 ?

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 ?

Parents : la difficulté de tout gérer

L'arrivée d'un enfant hémophile dans une fratrie bouleverse les familles. Elle augmente les divorces et entraîne des situations d'échec professionnel des parents. L'annonce du diagnostic reste un choc malgré la qualité de vie nettement supérieure aujourd'hui des enfants à naître comparativement à il y a 10 ans ou plus. En plus du choc de l'annonce diagnostic, l'absence de profil type en hémophilie modéré rend incertain l'avenir du patient quant à son risque de saignement. L'empirisme est en pratique la seule option. L'enfant est diagnostiqué mais seul le temps permet de se rendre compte du phénotype de l'enfant.

Adulte : une résilience de l'entourage nécessaire

L'âge adulte s'accompagne, pour un hémophile, de douleurs chroniques articulaires et de périodes inflammatoires exacerbées. La fatigue, les syndromes dépressifs et les divorces sont nombreux.

Seniors : prendre sur soi les comorbidités

Le vieillissement de la population hémophile est récent, avant ils mourraient. Beaucoup doivent découvrir avec leur entourage, une vie hyper-médicalisée. La prise en compte du VIH et du VHC entraîne une multiplication des acteurs de soins.

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.

Les hémophiles A modérés sans inhibiteurs sont traités par la substitution en protéine Facteur VIII déficitaire de façon préventive (prophylaxie) ou curative (à la demande).

Aujourd'hui 3 gammes de médicaments dérivés du sang et analogues recombinants coexistent :

- Les produits plasmatiques ;
- Les recombinants issus de génie génétique depuis 1993 dits « facteurs conventionnels » ;
- Les recombinants dits « facteurs longue durée d'action » depuis 2017 : leur durée de vie est 1,5 plus longue que les facteurs conventionnels.

La desmopressine est également utilisée mais de façon très rare (1% de la population HA modérée selon France coag)

Pour 20% des patients concernés aucun traitement est utilisé

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Avec les traitements actuellement disponibles il est facile de mesurer le taux d'activité du facteur VIII pour garantir une couverture adéquate est proposé au patient, soit pour ses activités quotidiennes ou lors d'intervention chirurgicale.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

La difficulté de la répétition des injections par voie intra-veineuse tout au long de la vie est lourde à supporter

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

Durée de la demi-vie du médicament entraîne entre 1 à 3 injections par semaine ce qui rend à long terme une difficulté d'abord veineux.

Les traitements prophylactiques protègent de nombreux saignements mais ne protègent pas de micro-saignements articulaires. A long terme l'apparition d'arthropathie hémophilique est une comorbidité à gérer.

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.

Dans le cas de l'hémophilie sévère sans inhibiteur le traitement a permis de constater depuis son accès en juin 2020 :

- Diminution importante des saignements constatés par tout patient ;
- Rapidité d'administration et moindre contrainte (intra-veineuse devenue sous-cutané) ;
- Avantage réel pour nourrissons et personnes âgées à l'accès veineux complexe (+/- 10% population) ;
- Nombre d'injection nettement plus faible (13 à 52 sous-cutanées par an + une poignée d'intraveineuse pour gérer à 1 à 3 accidents hémorragiques) ;
- Apprentissage du geste réalisable chez des enfants plus jeunes ;
- Sentiment d'une nouvelle vie, de rajeunir ;
- Reprise d'activités physiques même à un âge mûr ;
- Amélioration considérable de la qualité de vie ;

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 ?

- Reconstitution uniquement d'une partie de la solution à injecter.
- Perte de 0 à 50% du volume selon la masse du patient.
- Dosage en fonction de la masse au kg près : nécessité de surveiller son poids (enjeu de santé publique -> campagne d'activité physique et nutrition en ce sens).
- Faible variété de flacon : 4 flacons différents seulement nécessitant parfois 2 ou 3 injections.
- Conservation du médicament uniquement au réfrigérateur (température entre 2 et 8 degrés)
- Utilisation d'un autre médicament pour gérer un saignement. Emicizumab / Hemilbra® est uniquement utilisable en prophylaxie et ne peut endiguer les saignements intercurrents.
- Nécessité de conserver un stock de facteur VIII et risque de perte si péremption.
- Absence de stylo pré-injectable comme pour les insulines dans un diabète de type 1.
- Perte de nombreuses unités non injectées et donc jetées entraînant un coût financier majeur non justifié (jusqu'à 50% d'un flacon).

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 ?

NA

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 ?

NA

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 ?

Voir section 1.1.1 plus haut

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

Voir section 1.2 plus haut

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).*

Voir section 1.3.2.1 plus haut

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 ?

Tous types de saignements et ou de douleurs traitées par voie thérapeutique ou non.

Toutes difficultés de prise en charge aux urgences notamment dans le cadre d'une analyse biologique considérée comme normale (TCA) et la non écoute des professionnels de santé des services d'urgences

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. ?)

Le suivi de la santé articulaire est le challenge de demain avec cette nouvelle thérapeutique. Le Centre de référence en hémophilie doit proposer un protocole de suivi particulier de la santé articulaire sur tout le territoire français incluant les outils pour recueillir les imageries nécessaires et la capacité de lire les données. Toutes ces données doivent être intégrées dans le registre FranceCoag. Le laboratoire doit apporter son soutien financier pour faciliter la mise en place de ce suivi.

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 ?

L'AFH s'étonne d'un Recueil de données à minima limité à des données démographiques et posologiques. Il aurait été intéressant d'avoir un recueil de données en termes de qualité de vie pour approfondir les connaissances faibles sur cette population spécifique.

Le guide méthodologique de la HAS « Accès précoce des médicaments : accompagnement des laboratoires » recommande le recueil de données d'efficacité. Ici il n'en est pas fait état.

Si ces différents types de données sont demandées au laboratoire, le registre FranceCoag doit être l'outil de collecte et de centralisation de ces données.

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'utilisateurs lors de l'examen de la demande.

Vous pouvez ici manifester votre intérêt pour une telle audition (en plus de cette contribution écrite).

ATTENTION : Les auditions devant la commission de la transparence sont ordinairement accordées dans le cadre des autorisations d'accès précoce ; elles sont exceptionnelles dans le cadre du remboursement.

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



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

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

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

L'arrivée de cette thérapeutique dans une population qui est similaire à la population hémophile A sévère sans inhibiteur est pour l'AFH une arrivée tardive.

A l'été 2020, l'arrivée d'Hemlibra® pour les patients avec une hémophilie Sévère sans inhibiteur avait été vécu comme une injustice par les patients vivant avec une hémophilie A modérés sans inhibiteurs à phénotype sévère du fait de leurs caractéristiques proches.

Ainsi, cette arrivée est attendue depuis plus de deux ans pour ces patients.

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.

L'AFH ne comprend pas pourquoi l'indication d'utilisation au Japon et aux Etats Unis est pour les patients sous prophylaxie sans distinction de taux de sévérité alors qu'en France la demande est faite pour les formes modérées avec un accès veineux difficile ou un phénotype hémorragique sévère.

Il y a un sentiment de laisser des patients qui pourraient bénéficier de cette thérapeutique sur le bord de la route.

De plus il est nécessaire que le laboratoire développe de nouveau outil d'analyse biologique pour mesurer le taux d'équivalence d'activité du facteur VIII. Ainsi qu'un outil qui ne rendrait pas un TCA normal les personnes sous HEMLIBRA.

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 ?

Discussion avec la communauté médicale et de patient au quotidien

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

Idem

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

Nicolas Giraud, Président de l'Association Française des Hémophiles

Carol Betsch, Directrice Générale de l'AFH

Gaëtan Duport, Responsable groupe de travail médicaments de l'AFH

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 ?

10 heures

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

L'avancée de la deadline en fin de période a été un frein à l'élaboration d'un questionnaire plus fourni.

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

