
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

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.

Identité de l'association ou du groupe

Nom (sigle) : AFM-Téléthon, AFM. Association de malades et de leurs familles reconnue d'utilité publique - Association de patients agréée au niveau national. Agrément N2021RN0022 renouvelé par arrêté ministériel du 17 juin 2021 - L'AFM-Téléthon est dirigée par un Conseil d'administration constitué uniquement de malades ou parents de malades

Site internet : <https://www.afm-telethon.fr/>

Principales activités : Vaincre les maladies neuromusculaires grâce à la recherche et au développement de nouvelles thérapeutiques. Accompagner les malades au quotidien. Voir rapport annuel accessible sur le site internet de l'AFM-Téléthon : <https://www.afm-telethon.fr/fr/actualites/le-rapport-annuel-et-financier-2021-est-paru>

Adresse : 1 rue de l'Internationale, Evry – 91 000 EVRY Cedex -

Personne contact pour les contributions : Hervé Nabarette

Fonction: Dir adjoint Affaires Publiques

Email: hnabarette@afm-telethon.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

Budget total de l'association pour l'année passée : l'intégralité des comptes de l'AFM-Téléthon et du rapport du commissaire aux comptes sont publiés sur le site internet de l'association [AFM_RA2022 web.pdf \(afm-telethon.fr\)](#)

En 2022, les recettes ont été de 132,5 millions d'euros. 88 % provenait de la générosité du public, 8,2% de contributions publiques. (voir P19 du rapport annuel et financier cité ci-dessus)

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : Ultomiris

Dénomination commune internationale (DCI) : Ravulizumab

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

Renouvellement d'un médicament en accès précoce post-AMM chez les patients adultes atteints de myasthénie auto-immune généralisée

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

- ☐ En vue du remboursement de droit commun
- ☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

Les accès précoces doivent être renouvelés au bout d'un. C'est l'occasion de considérer les données nouvellement recueillies, qui augmentent la connaissance sur la prise et les effets du médicament. Les associations sont invitées à contribuer aux évaluations. Mais n'ayant pas accès au dossier de l'industriel, elles ne connaissent pas ces informations, portant sur un médicament financé par la collectivité et que prennent les patients qu'elles représentent. L'AFM-Téléthon et les autres associations de France Assos Santé réclament depuis plusieurs années d'avoir connaissance du contenu des dossiers déposés. Il s'agit d'une condition importante pour accroître la pertinence des contributions.

Ci-après, dans l'ignorance des nouvelles informations sur le médicament, nous rappelons la synthèse de notre précédente contribution, qui recommandait notamment le recueil d'un PRO.

1. Questionnaire – Partie D : Synthèse

Concernant la maladie et l'arrivée des nouveaux traitements

La myasthénie est une maladie rare. La forme réfractaire concerne environ 10% des patients myasthéniques. Ils ne répondent pas, ou plus aux traitements, ou sont intolérants. La gravité de la myasthénie réfractaire est incontestable.

En plus du risque de crise pouvant mettre en jeu le pronostic vital, les patients atteints de myasthénie réfractaire ont une qualité de vie gravement compromise : diplopie qui interfère avec la plupart des activités de la vie quotidienne, faiblesse des muscles faciaux et bulbaires qui peut entraîner une incapacité à parler, à mâcher et à avaler, ou une difficulté à tenir la tête en raison de la faiblesse des muscles du cou, difficultés à effectuer les activités quotidiennes en raison de la faiblesse des muscles (en particulier des membres), difficulté transitoire à conduire du fait des déficiences visuelles et/ou en raison de l'incapacité à appuyer longtemps sur la pédale d'embrayage et/ou en raison de l'incapacité à tenir le volant avec les bras trop faibles, difficulté à monter les escaliers, à effectuer les tâches ménagères quotidiennes. Les patients réfractaires ont besoin d'une aide pour s'occuper d'eux.

Les patients dont la maladie est réfractaire sont dans deux situations possibles : soit ils continuent de prendre un traitement immunosuppresseur dont l'efficacité est faible, soit ils l'ont abandonné du fait de l'absence d'efficacité ou des effets secondaires. Ces patients sont dans une situation où ils n'ont plus d'alternative thérapeutique.

Vis-à-vis des nouveaux traitements, la principale attente est que les malades puissent enfin répondre à un traitement, pour limiter les symptômes, éviter les crises, et améliorer la qualité de vie. Un délai d'action de quelques jours ou quelques semaines plutôt que quelques mois constituerait une importante amélioration au regard de traitements déjà essayés par ces patients.

L'arrivée simultanée de plusieurs traitements concurrents est accueillie positivement par les patients mais ils craignent que l'absence de données comparatives et de consensus clairement formalisé ne rende opaque le choix éclairé des meilleures alternatives. Dans un contexte de fortes tensions dues à l'insuffisance de moyens humains experts dans le traitement de ces maladies, ils craignent que l'accès effectif à ces traitements autorisés précocement ne soit que théorique dans l'attente de rendez-vous et d'un suivi hospitaliers.

Concernant les données recueillies et les systèmes d'information

Actuellement, deux dossiers de médicament pour la myasthénie réfractaire (Ultomiris, Vyvgart) sont examinés par la HAS : les deux reposent sur le MGADL (saisi par le médecin) comme critère d'évaluation. Le dossier de Vyvgart fait en plus appel à un PRO saisi par le patient, le MGQOL (mensuellement, sur une application ou ordinateur). D'autres produits doivent arriver sur le marché et les industriels proposeront peut-être d'autres choix.

Il semblerait peu cohérent que la HAS n'ait pas une approche unifiée en termes de demandes auprès des différents laboratoires concurrents. Soit le MGQOL est demandé auprès de tous les laboratoires, ce qui pourrait permettre d'acquérir des données comparatives, soit il n'est demandé à aucun.

Il convient aussi de recueillir les épisodes de crise, lors de la première administration et au-delà. Dans les traitements à l'inclusion, il convient de noter aussi les nouveaux médicaments, car ils pourront se succéder dans les mois à venir.

L'accès précoce pour ce médicament fait l'objet d'un recueil dans un système d'information particulier. Actuellement, deux industriels et bientôt un troisième déposent des dossiers d'accès précoce. Les médecins devront bientôt utiliser au moins trois systèmes différents, en plus du dossier médical.

Il existe un besoin important d'un système d'information unique pour enregistrer au mieux l'historique des traitements et de leurs résultats. Ceci permettrait de faciliter les suivis en vie réelle, y compris les évaluations comparatives. Ce système pourrait permettre de mieux comprendre les parcours de soins et de vie avec la maladie.

Afin d'éviter les écueils et effets pervers de collectes de données multiples et non coordonnées nous demandons que la HAS incite fortement les industriels à collaborer avec la filière FILNEMUS et les associations de patients afin de mettre en place une base de données unique dédiée à la myasthénie. Il s'agit d'une maladie rare pour laquelle une telle approche est de très loin la meilleure solution.

Concernant l'information des patients sur l'accès précoce

Le document actuel présente des informations génériques venant de la HAS et des informations spécifiques venant de l'industriel. Les informations spécifiques semblent parfois suffisantes d'autant que les deux niveaux peuvent se contredire (voir recueil d'un PRO par le patient). Il est fait référence au plan de gestion de risque / rubrique « Guide d'information patient ». Sauf erreur il ne figure pas dans le document PUT RD, ce qui explique peut-être l'absence d'information de mise en garde et précautions d'emploi.