
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	12
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	13
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	15
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	24
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	25

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

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 Santé respiratoire France

Site internet :

www.sante-respiratoire.com

Adresse postale (le cas échéant) :

115 rue Saint Dominique, 75007 Paris

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Beyfortus nirsevimab

Dénomination commune internationale (DCI) :

Nirsevimab

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

Prévention des infections des voies respiratoires inférieures dues au virus respiratoire syncytial (VRS) chez les nouveau-nés et les nourrissons au cours de leur première saison de circulation du VRS.

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 ?

Le VRS peut s'avérer particulièrement dangereux chez les nourrissons. Une forte sensibilité liée à ce que les nourrissons sont des sujets immatures sur le plan immunologique et sur le plan respiratoire (bronches de très petit calibre). La toux du tout-petit étant par ailleurs moins efficace, les nourrissons ont une propension à s'encombrer plus facilement.

→ Les manifestations cliniques :

- **La bronchiolite, un poids lourd chez les enfants de moins de 2 ans¹**
Première cause d'hospitalisation en pédiatrie
 - Elle touche chaque hiver près de 30 % des nourrissons de moins de 2 ans, soit environ 480 000 cas par an (données Santé publique France).

¹ Sources : Santé publique France et <https://bmcinfectdis.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12879-021-06399-8>

- Elle représente environ 30 000 hospitalisations par an chez les enfants de moins de 2 ans. Parmi ces enfants, les 2/3 ont moins de 6 mois (75 % environ dues au VRS) (Santé publique France).
- 22 % à 28 % des hospitalisations des nourrissons de moins de 1 an sont dues au VRS durant la saison hivernale.
- En France, 87 % des enfants hospitalisés pour une maladie associée au VRS sont nés à terme et en bonne santé.
- Entre 2010 et 2018, près de la moitié (47 %) des hospitalisations associées au VRS ont été enregistrées chez les nourrissons nés en dehors de la saison du VRS.
- **Des otites**
- **Des infections à pneumocoques** (associées ou déclenchées à un VRS). Environ 40 % des pneumonies à pneumocoques chez les enfants de moins de 2 ans sont associées au VRS.

L'immunité face au VRS n'est pas forcément définitive durant les premières années de vie. Une proportion non négligeable d'enfants font face à une nouvelle infection, avec des formes moins graves et des manifestations cliniques différentes.

→ **Impact médical sur l'enfant et sur sa « trajectoire respiratoire » :**

- Virus susceptible de provoquer des détresses respiratoires aiguës du fait d'une importante inflammation de la paroi des bronches et des alvéoles.
- Les enfants ayant été hospitalisés pour une infection sévère à VRS peuvent développer de **potentielles complications** sur le long terme telles que : une respiration sifflante récurrente, une exacerbation de l'asthme/de la BPCO².
- Une infection sévère par le VRS dans la petite enfance **peut entraîner des modifications du développement pulmonaire, surtout si cela survient très tôt dans la vie.** Dès le plus jeune âge, ces enfants ont un capital souffle amputé, une croissance pulmonaire non optimale.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients³ 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)

² <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/28226227/>

³ 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.

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 ?

→ Impact pour les familles et le système de santé :

- Environ 35 000 hospitalisations par an sont associées au VRS chez les enfants de moins de 1 an.
- Des hospitalisations d'enfants loin de chez eux.⁴ Au 30 novembre 2022, la saturation des hôpitaux d'Ile-de-France avait déjà entraîné le transfert de 42 jeunes patients.⁵

→ Impact socio-économique de la bronchiolite (article Le Pédiatre⁶)

Une enquête menée par l'AFPA R&D et mpedia.fr auprès de plus de 2000 familles en 2022 met en lumière les conséquences de la bronchiolite de l'enfant sur la qualité de vie des familles : en dehors des complications médicales, l'hospitalisation d'un nourrisson est **un évènement stressant pour sa famille**, avec des répercussions familiales, tant au niveau des parents que de la fratrie. Ces conséquences peuvent être psychologiques, liées au stress de l'hospitalisation, professionnelles, organisationnelles, et financières.

Les conséquences de la maladie sur la famille sont nombreuses et variées : anxiété, changement de mode de garde, conséquences sur la qualité de travail. Une inquiétude est signalée par plus de trois quarts des parents.

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)

⁴ <https://www.iledefrance.fr/bronchiolite-la-region-accorde-une-aide-de-150-euros-aux-familles-en-difficulte>

⁵ https://www.lemonde.fr/societe/article/2022/11/30/bronchiolite-l-inquietude-des-parents-d-enfants-transferees-ou-contraints-a-des-reports-de-soins_6152310_3224.html

⁶ https://www.linkedin.com/posts/immuniser-lyon_impact-socio-economique-de-la-bronchiolite-activity-7071832976472305665-i3BX/?utm_source=share&utm_medium=member_desktop



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.

Prévention :

- **Actuellement, la prévention de la bronchiolite repose principalement sur les mesures d'hygiène :**
 - Se laver les mains avant d'approcher un nourrisson.
 - Eviter que les personnes infectées ne viennent embrasser les bébés,
 - Porter un masque en cas d'infection,
 - Éviter, quand cela est possible, d'emmener son enfant dans les endroits publics confinés (transports en commun, centres commerciaux, etc.), où il risquerait d'être en contact avec des personnes enrhumées)
 - Ne pas partager les biberons, sucettes ou couverts non lavés
 - Aérer la chambre en ouvrant les fenêtres au moins 10 minutes par jour
 - Ne pas fumer à proximité des bébés et des enfants
 - Nettoyer régulièrement les objets avec lesquels le nourrisson est en contact (jeux, tétines...).
- Jusqu'à aujourd'hui, seul un traitement préventif de la bronchiolite existait, **le palivizumab**, un « anticorps monoclonal » anti-VRS à action immédiate.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

A propos du palivizumab, un « anticorps monoclonal » anti-VRS à l'action immédiate :

- Onéreux (plusieurs centaines d’euros par injection),
- Très contraignant (injections répétées avec des volumes qui vont crescendo, corrélés au poids de l’enfant),
- Et administré uniquement aux bébés les plus fragiles (principalement les grands prématurés, en particulier ceux souffrant d’une pathologie respiratoire).

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

Le traitement préventif est uniquement proposé aux bébés les plus fragiles, principalement les grands prématurés. Or, en France, 87 % des enfants hospitalisés pour une maladie associée au VRS sont nés à terme et en bonne santé.

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.

Le nirsevimab - nouvel anticorps monoclonal à longue durée d'action - **représente une avancée majeure en termes de santé publique**, avec plusieurs améliorations notables :

- Un mode d'administration simple (une unique injection intramusculaire), probablement plus acceptable par les familles,
- Une efficacité renforcée sur le VRS*,
- Un élargissement de la prescription = conçu pour protéger tous les nourrissons contre les infections par le VRS, de la naissance jusqu'à leur première saison où circule le virus. La prescription n'est plus réservée aux enfants ayant les facteurs de risque les plus importants. Cela constitue un réel progrès car de nombreuses études ont montré qu'en France, 87 % des enfants hospitalisés sont des enfants nés à terme en bonne santé (soit environ 50 000 hospitalisations par an),
- Un profil de sécurité et de tolérance satisfaisant⁷.

**Des données de l'essai clinique de phase IIIb HARMONIE montrent une réduction de 83,21 % des hospitalisations pour infections des voies respiratoires inférieures dues au VRS, chez les nourrissons de moins de 12 mois ayant reçu une seule dose de nirsevimab, comparativement aux nourrissons n'ayant reçu aucun traitement préventif contre le VRS.*

⁷ Hammitt LL, Dagan R, Yuan Y, et al ; MELODY Study Group. Nirsevimab for Prevention of RSV in Healthy Late-Preterm and Term Infants. N Engl J Med. 2022 Mar 3;386(9):837-846.

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 ?

Face au **déficit de connaissances** des parents et futurs parents à propos du VRS et la **défi**ance autour des vaccins, un travail de pédagogie et de sensibilisation sera nécessaire pour convaincre des bénéfices de cette nouvelle solution de prévention des infections à VRS chez les nourrissons (expliquer ce qu'est le VRS, le principe de l'immunisation, etc.).

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 secondaires, 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 ?
Des bénéfices attendus à l'échelle individuelle mais aussi collective :**

- Retarder le plus possible la primo-infection de l'enfant (quasi systématique chez tous enfants de moins de 2 ans, mais plus grave chez les nourrissons de moins de 3 ou 6 mois).
- Diminuer le poids de la maladie chez l'enfant et son entourage.
- Réduire le poids de la maladie sur la société.
- Désengorger le système de soins et les urgences pédiatriques lors de la période épidémique.

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'information renforce l'adhésion et le recours aux traitements, qu'il soit préventif ou curatif. Convaincre les parents de cette opportunité de prévention pour leur futur nouveau-né sera un enjeu majeur. Cela va nécessiter de la pédagogie pour une meilleure compréhension du poids et des conséquences possibles d'une infection à VRS sur l'enfant, sa famille et la société.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 notamment⁸ 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).*

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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.

⁸ 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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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. ?)

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 fin⁹.



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

⁹ Également appelées « variables d'intérêt »

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Pour pouvoir exposer nos arguments et notre vision quant à l'opportunité que représente cette nouvelle solution de prévention des infections respiratoires à VRS pour les nourrissons.

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.

Ce nouveau traitement préventif constitue un réel espoir alors que les services d'urgences pédiatriques et de pédiatrie sont saturés chaque année en hiver par un afflux de nourrissons infectés par le virus.

Environ 60 à 70 % des nourrissons rencontrent pour la première fois le VRS durant leur première année de vie. A 2 ans, la séroprévalence est quasiment de 100 %. L'élargissement de la prescription de ce nouvel anticorps monoclonal constitue un réel progrès car de nombreuses études ont montré qu'en France, 87 % des enfants hospitalisés sont des enfants nés à terme en bonne santé (soit environ 50 000 hospitalisations par an).

Accompagner l'arrivée de cette nouvelle solution semble primordial pour encourager l'adhésion des parents, avec une sensibilisation en amont de la naissance. Cette campagne d'information doit mobiliser l'ensemble des acteurs : pouvoirs publics, professionnels de santé (interlocuteurs de confiance des parents / s'appuyer aussi sur les associations de formation professionnelle continue), associations (pour vulgariser l'information) etc.

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.

Cette avancée pharmacologique ne doit pas faire oublier **l'importance des gestes barrières**, des consignes simples mais toujours négligées : se laver les mains, éviter que les personnes infectées ne viennent embrasser les bébés, porter un masque en cas d'infection, éviter les expositions en collectivité, éviter le tabagisme, favoriser l'allaitement maternel.

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 ?

Sources :

- Etudes scientifiques,
- Données Santé publique France,
- Organisation d'une table-ronde portant sur la prévention des infections à VRS au cours de laquelle la voix des professionnels de santé (pédiatres, pneumologue, virologue, infectiologue) et des familles était représentée (association de parents).

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

X

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

Odile SAUVAGET (Directrice Santé respiratoire France) et Frédéric LE GUILLOU (Président de Santé respiratoire France)

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 ?

3 heures

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

