

---

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

---

|                                                                                                                              |           |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| <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)                                               | 13        |
| 1.3. Le médicament évalué                                                                                                    | 14        |
| 1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire                                                            | 14        |
| 1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)                           | 15        |
| 1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement : | 15        |
| 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>24</b> |
| <b>6. Questionnaire – Partie F : Méthodes</b>                                                                                | <b>25</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) :**

Solidarité Verneuil

**Site internet :**

<https://www.solidarite-verneuil.org>

**Adresse postale (le cas échéant) :**

**Nature de la structure :**

- ☒ Association agréée au niveau national
- ☐ Association agréée au niveau régional
- ☐ Association non agréée
- ☐ Autre (préciser) :

# Médicament sur lequel porte cette contribution

**Nom commercial :**

Cosantyx

**Dénomination commune internationale (DCI) :**

Secukinumab

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

L'indication de la maladie de Verneuil ou hidradénite suppurée.

**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 ?**

La maladie de Verneuil, également connue sous le nom d'hidradénite suppurée, est une maladie de peau chronique et inflammatoire qui affecte principalement les régions du corps riches en glandes sudoripares et follicules pileux, comme les aisselles, l'aîne, les fesses et les parties génitales. Les impacts de la maladie de Verneuil sur les patients peuvent être considérables et varient en fonction de la gravité de la maladie et de la manière dont elle affecte la vie quotidienne de chaque personne. Voici quelques-uns des impacts possibles de la maladie de Verneuil sur les patients :

1. Douleur physique : Les lésions caractéristiques de la maladie de Verneuil sont souvent douloureuses et peuvent être aggravées par les mouvements, la friction et la pression. Cette douleur peut être constante et perturber les activités quotidiennes.
2. Gêne fonctionnelle : Les lésions et les abcès qui se forment peuvent limiter la mobilité et entraîner une gêne lors de mouvements simples tels que marcher, s'asseoir, se pencher ou lever les bras.

3. Impact psychologique : La maladie de Verneuil peut avoir un impact significatif sur la santé mentale des patients. La douleur constante, les symptômes visibles et les problèmes de confiance en soi liés à l'apparence physique peuvent entraîner de l'anxiété, de la dépression et une baisse de l'estime de soi.
4. Isolement social : En raison de la douleur, de l'inconfort et de l'embarras associés à la maladie, certaines personnes peuvent éviter les activités sociales, les interactions sociales et les situations qui pourraient exposer leurs symptômes.
5. Difficultés relationnelles : Les symptômes visibles de la maladie de Verneuil peuvent affecter les relations interpersonnelles, notamment les relations intimes et romantiques, en raison de la gêne et de la douleur.
6. Fatigue : Les symptômes de la maladie de Verneuil, tels que la douleur et l'inflammation, ainsi que le stress mental associé à la maladie, peuvent contribuer à la fatigue chronique.
7. Incapacité de travail : Les symptômes de la maladie de Verneuil peuvent parfois être si graves qu'ils empêchent les patients de travailler de manière régulière ou de manière productive.
8. Traitements récurrents : La maladie de Verneuil nécessite souvent des traitements médicaux à long terme, ce qui peut entraîner des visites fréquentes chez les professionnels de la santé et une gestion complexe de la maladie.

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 ?

DLQI

### 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*

<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.

- *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 ?**

1. **Stress émotionnel** : Les proches et les aidants peuvent ressentir du stress, de l'inquiétude et de l'anxiété en voyant leur être cher souffrir de douleur et d'inconfort constants. La nature chronique et parfois invalidante de la maladie peut être émotionnellement éprouvante.
2. **Charge de soins** : Prendre soin d'une personne atteinte de la maladie de Verneuil peut être exigeant physiquement et mentalement. Les soins peuvent impliquer l'assistance pour les soins de la peau, l'accompagnement aux rendez-vous médicaux, la gestion des médicaments et bien plus encore.
3. **Adaptations de la vie quotidienne** : Les proches et les aidants peuvent devoir adapter leur propre mode de vie en fonction des besoins du patient. Cela peut inclure des changements dans les activités, les horaires et les habitudes pour répondre aux besoins du patient.
4. **Isolement social** : La maladie de Verneuil peut affecter la vie sociale du patient ainsi que celle de ses proches. Les sorties et les interactions sociales peuvent être réduites en raison de la nécessité de gérer les symptômes et les soins.
5. **Impact financier** : Les frais médicaux liés au traitement de la maladie de Verneuil et aux consultations médicales peuvent exercer une pression financière sur les proches et les aidants, en particulier si les traitements sont fréquents ou impliquent des spécialistes.
6. **Gestion du stress** : Les proches et les aidants peuvent éprouver du stress en raison de l'incertitude entourant la maladie et de la responsabilité de prendre soin du patient. Cela peut influencer leur propre santé mentale et physique.
7. **Sentiments d'impuissance** : En dépit de leurs efforts pour soutenir le patient, les proches et les aidants peuvent parfois se sentir impuissants face à la maladie et à ses effets sur la vie du patient.
8. **Impact sur les relations** : La maladie de Verneuil peut également entraîner des conséquences sur les relations familiales et amicales des proches et des aidants. Les changements de rôle et les tensions émotionnelles peuvent affecter la dynamique familiale.

## 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.**

Stade I : acide clavulanique ou pristinalycine

Cycline

Stade II : Rétinoïde en cas d'échec Adalimumab ou Infliximab

Stade III : Caftrioxone et métrozinadole / ou Lévofoxacine

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

Limite les poussées chez certains patients ainsi que la fréquence

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

Accoutumance ou médicament non adapté au profil du malade

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

Les différents traitements se faisant en cas d'échec du précédent certains patients se retrouvent en fin de parcours médicamenteux possible.

Aucun ne guérit la maladie

Aucun ne prévient à 100% la survenue de poussées

Malgré la prévention des poussées, aucun n'améliore le niveau de handicap ou permet la récupération

Il y a également un manque d'accès aux médicaments innovants.

### 1.3. Le médicament évalué



*Les catégories ci-dessous sont proposées à titre indicatif, elles peuvent être utilisées dans certaines questions. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients principaux qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :*

- l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
- la qualité de vie (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives ;*
- la qualité de vie de ses proches ;*
- l'usage de ce traitement ;*
- le parcours de santé et de vie du patient ;*
- autres : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.*

#### 1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

**Le libellé de l'indication demandée (ce qui désigne les patients concernés) par le laboratoire vous semble-t-il adéquat ? Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ?** Merci de justifier votre réponse.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



*Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement remplir la rubrique « Si vous avez une expérience... » ci-dessous (§ 1.3.2).*

*Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, ne remplir que la rubrique « Si vous n'avez pas d'expérience... » (§ 1.3.3).*

*Vous pouvez laisser vide l'une ou l'autre de ces rubriques.*

### **1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)**

#### **1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :**

**Quelles sont les principales améliorations constatées par rapport aux traitements actuels ?**



*Exemples d'amélioration (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.*

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

### **1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?**

#### **1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation**



*Exemples d'attentes (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.*

### **Quelles sont les principales améliorations attendues par rapport aux traitements actuels ?**

L'infliximab en perfusion étant le dernier traitement possible, un traitement par stylo injectable d'une nouvelle molécule serait un confort pour les malades surtout en termes de gestion de temps et éviter de poser une journée pour pouvoir se rendre à l'hôpital.

Aussi l'essai d'une autre molécule pour les patients en échec de traitements médicamenteux.

#### **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 ?**

La crainte est : des effets secondaires à très long terme qui ne seraient pas encore connus.

## 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 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).*

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.*

<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](#)



*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 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*

<sup>3</sup> 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 ?**

L'Association peut dans le cadre d'une intervention orale, ou mieux encore dans un échange avec la Haute Autorité de Santé, apporter des précisions sur la vie avec la maladie et les difficultés liées aux traitements, répondre à des questions qui naîtraient de la lecture de sa contribution.

Il est important que la Haute Autorité de Santé puisse entendre la voix des Patients.

## 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.*

Les personnes atteintes de cette maladie peuvent faire face à diverses difficultés dans leur vécu quotidien. Voici quelques-unes des plus grandes difficultés associées à la maladie de Verneuil :

La douleur, le gêne physique et esthétique, l'impact sur la mobilité, les effets psychologiques, l'isolement social, les difficultés dans les relations, la gestion du traitement et l'absentéisme professionnel.

Les thérapies disponibles pour la maladie de Verneuil, peuvent présenter des limitations en raison de la complexité et de la nature chronique de la maladie. Voici quelques raisons pour lesquelles les thérapies actuellement disponibles peuvent être considérées comme inadéquates pour certains patients :

1. Efficacité variable : Les traitements existants ne sont pas toujours efficaces pour tous les patients. Les réponses individuelles peuvent varier, ce qui signifie que certaines personnes ne constatent qu'une limitée de leurs symptômes, voire aucune du tout.
2. Effets secondaires : Certains traitements, tels que les antibiotiques à long terme, peuvent avoir des effets secondaires indésirables, tels que des problèmes gastro-intestinaux, des infections à levures et des résistances bactériennes.
3. Besoin de traitements répétés : De nombreux traitements actuels ne conduisent souvent qu'à une temporaire des symptômes. Cela peut signifier que les patients doivent subir des traitements répétés ou continus pour maintenir les résultats.
4. Retour des symptômes après l'arrêt du traitement : L'arrêt de certains traitements peut entraîner la réapparition des symptômes de la maladie, ce qui peut être frustrant pour les patients qui recherchent un soulagement à long terme.
5. Absence de traitement curatif : À ce jour, il n'existe pas de traitement curatif définitif pour la maladie de Verneuil. Les options thérapeutiques visent principalement à contrôler les symptômes et à améliorer la qualité de vie plutôt qu'à guérir complètement la maladie.
6. Impact sur la qualité de vie : Les traitements et la maladie elle-même peuvent avoir un impact négatif sur la qualité de vie des patients en raison de la douleur, de la gêne et des effets secondaires.

7. Approches limitées : Les approches thérapeutiques sont souvent centrées sur la gestion des symptômes aigus et de la douleur, mais peuvent ne pas cibler les facteurs sous-jacents responsables de la maladie.
8. Besoin de traitements combinés : En raison de la complexité de la maladie, certains patients peuvent nécessiter une combinaison de différentes thérapies pour gérer efficacement leurs symptômes, ce qui peut être compliqué à gérer.

En raison de ces limitations, il existe un besoin continu de recherches et de développements visant à améliorer les options thérapeutiques pour la maladie de Verneuil. Des approches plus ciblées et personnalisées, ainsi que des traitements novateurs, sont nécessaires pour répondre aux besoins des patients atteints de cette maladie chronique et améliorer leur qualité de vie. Si vous ou quelqu'un que vous connaissez atteint de la maladie de Verneuil, il est important de travailler en étroite collaboration avec un professionnel de la santé pour élaborer un plan de traitement adapté à votre situation individuelle.

Les patients attendent de nouveaux traitements pour leur pathologie afin d'améliorer leur qualité de vie, de réduire les symptômes, d'éviter les effets secondaires indésirables et de retrouver un bien-être général. Ces attentes sont ancrées dans l'espoir d'une vie meilleure et d'une gestion plus efficace de leur condition médicale.

## 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.*

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

## 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 ?**

Groupe Facebook « Verneuil on en parle » avec 1831 personnes

Les enquêtes d'Aristide sur notre site internet

Les divers webinaires avec Reso Verneuil et la conférence de Lille de juin 2022 disponible sur YouTube

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Marion Moulin

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

L'association a bénéficié de l'aide de Guillaume Molinier en qualité de consultant.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

C'est une première contribution pour Solidarité Verneuil, j'espère qu'elle sera assez complète.



## 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)

---

