
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	9
1. Questionnaire – Partie A	10
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	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)	19
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	19
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	20
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	21
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	22
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	23
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	24
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	25
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	26

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.

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

Vaincre la Mucoviscidose

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Vaincre la Mucoviscidose

Site internet :

<https://www.vaincrelamuco.org/>

Adresse postale (le cas échéant) :

181 rue de Tolbiac 75013 Paris

Nature de la structure :

☒ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☐ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :



Données personnelles collectées

Les données personnelles recueillies ci-dessus font l'objet d'un traitement de données par la HAS. Elles sont à destination des collaborateurs de la HAS. Elles servent uniquement à la gestion des contributions des associations aux travaux de la HAS.

Sauf opposition de votre part, vos coordonnées seront conservées pour pouvoir éventuellement vous solliciter pour d'autres travaux de la HAS. Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par mail à l'adresse suivante dpo@has-sante.fr

Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

☒ Oui

☐ Non



Vous devez remplir cette rubrique même si vous avez coché 'non' à la question ci-dessus. Votre décision sera respectée.

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine de votre financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), sur les trois dernières années.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : 11 946 000 €
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 10 731 000 €
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 13 073 873 €
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : La collecte de fonds relevant de la générosité du public (>90%), impossible de donner un montant à ce stade.

Tableau 1 : Sources de financement

Année 2022	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
Cotisations	Sans contrepartie	152 194 €	1%
Dons des particuliers, legs et mécénats	Collecte directe ou lors des manifestations	8 493 445 €	66%
Autres produits appel à générosité publique	Associations et produits financiers GP	262 296 €	2%
Parrainage des entreprises	Partenariats	137 700 €	1%
Contributions financières sans contrepartie	Subventions d'associations	1 071 793 €	8%
Autres produits	y compris produits des manifestations (1 737 k€)	2 224 185 €	18%
<i>Dont laboratoires pharmaceutiques</i>	<i>Prestations vendues</i>	<i>199 5756 €</i>	<i>1,6%</i>
Subventions publiques	Siège, locales et en provenance DGOS	441 085 €	4%
TOTAL ACTIVITES 2022		12 782 699 €	100%
Reprises, fonds dédiés et reportés	Hors budget d'activités 291 174 €	291 174 €	-
TOTAL PRODUITS 2022		13 073 873 €	100 %

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Orkambi®

Dénomination commune internationale (DCI) :

Ivacaftor / Lumacaftor

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

Orkambi® granulé indiqué dans le traitement de la mucoviscidose chez les patients âgés d'un an et plus homozygotes pour la mutation F508del du gène CFTR.

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 ?

Les symptômes de la maladie sont divers et nombreux et impactent lourdement la qualité de vie des enfants et de la famille. Les principaux symptômes sont respiratoires (respiration difficile à l'effort et/ou au repos, essoufflement, toux fréquente, bronchorrhée, crachats épais...), digestifs (douleurs abdominales, troubles nutritionnels, difficultés alimentaires précoces, diarrhée grasseuse, constipation...) et nutritionnels (croissance staturo-pondérale ralentie, jusqu'à la dénutrition). Les infections respiratoires fréquentes, nécessitent des cures antibiotiques et parfois des hospitalisations, avec un impact sur la garde des enfants.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportées par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

Oui il existe un questionnaire pour le recueil des données de qualité de vie (CFQ-R) mais il n'est pas adapté aux patients de 1 à 2 ans.

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 ?

Les soins débutent dès le diagnostic porté aux termes du dépistage, soit en moyenne entre 3 et 5 semaines de vie. Ils sont pluriquotidiens. Ils combinent une séance de kinésithérapie respiratoire 7 jours sur 7, des extraits pancréatiques au début de chacun des repas, y compris les repas lactés, des vitamines liposolubles, un régime normolipidique hypercalorique, une supplémentation en chlorure de sodium, des antibiothérapies fréquentes à visée pulmonaire, par voie orale, nébulisée

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.

à domicile ou intra-veineuse à l'hôpital, des bronchodilatateurs nébulisés. La vaccination antigripale annuelle, chaque automne, est accessible dès l'âge de 6 mois. Les soins, kinésithérapie et nébulisations tout particulièrement, mobilisent les parents, proches, aidants durant une à deux heures par jour environ, selon les enfants et les périodes pour un même enfant.

Au quotidien, la sensibilité aux infections broncho-pulmonaires impose de respecter certaines règles d'hygiène (lavage régulier des mains, nettoyage rigoureux des appareils pour les aérosols, éviction des eaux croupissantes et désinfection régulière des siphons dans l'environnement domestique du fait de la sensibilité à certaines bactéries hydrophiles comme *Pseudomonas aeruginosa*, etc.) et le maintien d'un environnement respiratoire sain (par exemple éviction du tabac). La prévention des infections respiratoires conduit à ne pas recommander la fréquentation des collectivités d'enfants pendant la première année de vie.

- **Fatigue intellectuelle ou physique :**

L'essoufflement et la fatigue chronique liés à la maladie peuvent rendre difficile la réalisation des activités du quotidien ou simplement de jouer pour les enfants. L'anxiété et la dépression touchent les jeunes et les adultes à des fréquences telles qu'elles nécessitent d'être dépistées systématiquement et régulièrement, non seulement chez les patients, mais aussi chez les parents. Elles ont un impact important sur la qualité de vie, mais également sur l'adhérence aux traitements et entraînent des coûts plus importants en termes de soins.

- **Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur**

La difficulté à digérer les graisses peut entraîner une dénutrition et un retard de croissance staturo-pondéral.

La mucoviscidose n'entrave pas le développement psychomoteur de l'enfant.

- **Activités de la vie quotidienne :**

Les symptômes de la maladie peuvent rendre difficile la réalisation de tâches du quotidien comme prendre le bain ou simplement jouer pour les enfants.

- **Mobilité/déplacement :**

Les symptômes liés à la maladie peuvent limiter les efforts physiques.

- **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**

Pour les enfants, prendre part aux activités peut parfois être difficile.

La maladie peut perturber l'activité professionnelle des parents compte tenu de la fatigue chronique présente chez la majorité des patients, de la lourdeur des soins quotidiens et des hospitalisations.

- **Vie sociale :**

La maladie perturbe souvent le champ relationnel. Il n'est pas rare que le caractère invisible du

handicap participe de la marginalisation sociale qui peut commencer dès le plus jeune âge. L'estime de soi est malmenée pour les patients : difficulté à parler de sa maladie, perturbation de l'image corporelle (cicatrices, gastrostomie, site veineux implantable sous la peau, maigreur...). En présence d'autres personnes, les patients atteints de mucoviscidose ainsi que leurs proches doivent parfois faire face à la méconnaissance de la maladie et expliquer qu'elle n'est pas contagieuse.

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.

Veuillez-vous référer au Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS) Mucoviscidose disponible sur le site internet de l'HAS.

Pour les troubles respiratoires : kinésithérapie respiratoire ; activité physique adaptée (APA) ; fluidifiant bronchodilatateurs ; corticoïdes ; antibiothérapie inhalée, orale ou intraveineuse ; vaccination (notamment contre pneumocoque ; tuberculose ; grippe chaque année).

Pour les troubles digestifs et nutritionnels : extraits pancréatiques, supplémentation vitaminique et calorique, apports hydro-sodés majorés, alimentation entérale.

Pour les traitements par modulateurs de CFTR veuillez consulter tableau via le lien ci-dessous :

https://www.vaincrelamuco.org/sites/default/files/tableaurecapaccesmodulateur_france_11.09.23_vf0.pdf

Les patients âgés de moins de 2 ans, homozygotes pour la mutation F508del n'ont pas accès à un modulateur de CFTR.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

La conjugaison de ces traitements symptomatiques et d'une prise en charge précoce dans les CRCM a conduit à des progrès considérables et à une augmentation de l'espérance de vie. Aujourd'hui plus de 60% des patients sont des adultes.

Les modulateurs de CFTR eux ont un impact global sur l'état de santé des patients avec une baisse significative du nombre d'exacerbation, d'hospitalisation ainsi qu'une amélioration significative de leur état respiratoire.

Ces traitements permettent la prévention du déclin de la fonction respiratoire. Ils permettent dans certains cas, de transformer cette maladie génétique mortelle en une maladie chronique stabilisée.

Les modulateurs ont un impact très positif sur les patients, ils améliorent très nettement les marqueurs biologiques et cliniques mais aussi la perception par les patients mêmes de leur état de santé et de leur qualité de vie.

Un des nombreux points positifs de ce traitement est la diminution du temps de prise des traitements au quotidien. Dans certains cas, la prise des modulateurs permet d'éviter la greffe.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

L'usage à long terme des traitements symptomatiques existants actuellement entraine des conséquences telles que la surdité, une insuffisance rénale, des allergies, une résistance aux antibiotiques ou encore des thromboses vasculaires.

Les modulateurs de CFTR ont peu d'inconvénients, cependant certains effets indésirables peuvent arriver durant la prise de ces traitements comme des perturbations hépatiques, des troubles de l'humeur ou du sommeil.

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

Les besoins non couverts concernent principalement la population des moins de 2 ans. Actuellement, les patients de moins de 2 ans n'ont accès à aucun modulateur, la prise du traitement Orkambi® permettrait une amélioration de l'état respiratoire du patient ou d'éviter sa dégradation, en attendant d'être éligible aux autres modulateurs notamment Kaftrio® dont les effets positifs sur les patients sont très importants.

Les patients de moins de 2 ans ne sont traités que de manière symptomatique. Or il est primordial de d'obtenir une stabilisation des symptômes respiratoires des patients voire une amélioration (visible par une stabilisation ou une amélioration du VEMS) ou encore d'éviter la survenance de tels symptômes chez des jeunes enfants. La prise du traitement permettrait aussi une meilleure prise de poids chez les patients pour qui la prise de poids est difficile due aux symptômes de la maladie.

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.

Le libellé de l'indication semble correct, la population de patients est bien ciblée.



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.

Un appel à témoignages auprès des parents d'enfants de 6 à 11 ans ayant bénéficié d'orkambi® nous a permis en 2018 (dans le cadre d'une contribution pour remboursement) d'obtenir 8 témoignages.

Les parents indiquent une amélioration (importante pour certains patients) et stabilisation du VEMS après la mise sous orkambi® (durée moyenne de traitement = 2 ans).

Via les témoignages il est constaté qu'Orkambi® a un impact sur les infections bronchiques (moins d'hospitalisations et de cures d'antibiotiques en IV) et en conséquence sur l'amélioration du VEMS.

Pour le quotidien, avec la disparition de nombreux symptômes, la reprise du sport (ou simplement de courir avec les copains) est possible sans ressentir d'essoufflement ou de tousser.

Avec la diminution du nombre d'hospitalisation de leur enfant et la reprise d'un rythme scolaire normal, les parents s'absentent moins de leur travail. Ainsi, la qualité de vie des enfants et de leur entourage est améliorée.

Verbatims :

« Notre vie a vraiment changé, beaucoup moins d'inquiétudes, beaucoup moins de soins supplémentaires à son traitement quotidien déjà lourd. »

« L'état général va au-delà de ce que nous espérions, il ne s'essouffle plus, ne tousse plus, n'est plus symptomatique, fait du sport tout le temps, n'est plus fatigué mais fatigue les copains »

« Très peu d'absence en classe, en 2 ans elle a été très peu malade, selon ses enseignants une des moins malades de sa classe. Et cela nous rassure sur le suivi de sa scolarité maintenant qu'elle est en fin de primaire. Et aussi beaucoup plus de facilité pour nous ses parents de nous absenter du domicile. »

« on revit avec notre enfant, nous avons une vie presque normale »

La préservation de la fonction respiratoire est un élément clé du pronostic de la maladie. La prévention du déclin de cette fonction doit se faire au plus tôt, dès le plus jeune âge. Ainsi, les attentes des parents de très jeunes patients, vis à vis des nouveaux modulateurs de la protéine CFTR à prescrire aux enfants en bas âge, sont très fortes.

Pour les parents, un traitement qui empêche la dégradation de l'état de santé de leur enfant doit transformer la mucoviscidose, maladie génétique mortelle la plus fréquente en France, en une maladie chronique stabilisée. Une telle perspective, non encore démontrée faute d'un recul suffisant, doit permettre une amélioration très importante de la qualité de vie en réduisant le traitement symptomatique à un socle minimal encore à définir. La simple réduction des antibiothérapies, des hospitalisations, la disparition de symptômes contraignants et une bonne prise de poids, déjà bien documentés, nourrit cet espoir.

Un traitement comme Orkambi® administré dès le plus jeune âge (pour les moins de 2 ans homozygotes F508del) empêcherait ou ralentirait l'apparition des symptômes de la maladie et permettrait donc une amélioration de l'état de santé du patient ainsi que leur qualité de vie et celle de leurs familles.

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 ?

NA

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 ?

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 ?

NA

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

NA

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).*

NA

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

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

serait pertinent de recueillir du point de vue des patients et/ou des aidants.



Dans cette rubrique, nous vous demandons d'exprimer les types de données ainsi que la façon de les recueillir qui sont les plus pertinentes de votre point de vue. Il n'est pas utile de mentionner les données purement médicales telles que les paramètres biologiques.

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

Quels sont les informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement évalué ?

NA

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. ?)

NA

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.



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 ?

NA

³ Également appelées « variables d'intérêt »

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



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

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

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 plus grandes difficultés du vécu avec la maladie chez le jeune enfant et sa famille sont les contraintes liées aux traitements quotidiens qui impactent fortement la qualité de vie, la vie familiale, et la vie professionnelle des parents. Quand l'état de santé se dégrade, le pronostic vital est en jeu et dans certains cas, la seule alternative thérapeutique est la transplantation pulmonaire. Les thérapeutiques actuelles sont pour la majorité des patients uniquement symptomatiques et n'empêchent pas la survenue d'épisodes d'exacerbations respiratoires, du déclin de la fonction respiratoire et de comorbidités. Orkambi® répond aux besoins et aux attentes des patients et des familles en améliorant, non seulement les marqueurs biologiques et cliniques mais aussi la perception par les patients mêmes de leur état de santé et de leur qualité de vie. Ces derniers aspects sont difficilement rapportés par les essais cliniques.

Les familles de ces enfants attendent une évolution significative de leur état de santé. Pour ce qui concerne les aspects symptomatiques de la maladie (capacité respiratoire, troubles digestifs, épisodes infectieux...etc.), ce n'est pas uniquement la stabilisation, mais une amélioration qui est espérée. Les parents s'attendent à ce que leur enfant soit moins fatigué et ait un regain d'énergie.

Ces améliorations auraient pour conséquence une diminution pour la plupart des hospitalisations, des cures d'antibiotiques.

Dans un contexte où les patients et les proches ont accès à une information globalisée, qui véhicule énormément d'espoirs avec la perspective de nouveaux médicaments innovants, l'arrivée de Orkambi® pour les patients à partir de l'âge d'un an sous forme de granulés est attendue aussi, car elle représente un gain de chances et une amélioration de leur qualité de vie au moins pour une partie de ceux qui n'ont pas encore accès au traitement (12-23 mois, homozygotes F508del). Le traitement empêcherait les patients d'avoir des atteintes respiratoires irréversibles. **L'initiation du traitement chez des enfants de plus en plus jeunes permet d'espérer qu'ils ne connaîtront pas la même évolution de la maladie que les patients qui sont adultes aujourd'hui. L'âge médian au décès est aujourd'hui de 40 ans** (Registre Français de la mucoviscidose, données 2022).

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.

NA

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 ?

Pour compléter le questionnaire, Vaincre la Mucoviscidose s'est basée sur sa connaissance de la maladie du fait de son expérience dans les domaines du soin, de la recherche et de la qualité de vie des patients.

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

Via un appel à témoignages et l'analyse des témoignages reçus.

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

Les salariés de l'association.

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

Aucune aide extérieure n'a été reçue.

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

2 jours

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

Aucunes difficultés rencontrées lors du remplissage du questionnaire.

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

