
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

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

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	14
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	15
1.3. Le médicament évalué	17
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	18
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	18
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	18
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	19
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	19
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	19
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	20
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	21
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	21
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	22
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	23
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	23
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	25
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	26
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	27
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	28

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 Immunodéficience primitive Recherche Information Soutien I.R.I.S

Site internet :

associationiris.org

Adresse postale (le cas échéant) :

3 rue de la Paix 55 100 VERDUN

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 :

HYQVIA

Dénomination commune internationale (DCI) :

Immunoglobuline Humaine Normale

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

Réévaluation dans l'indication HyQvia chez les patients de moins de 18ans. Et traitement substitutif chez l'adulte, l'enfant et l'adolescent atteints de déficit immunitaire primitif

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 ?

ADULTE	ENFANT
Fatigue intellectuelle ou physique	

Une large majorité de la communauté des patients DIP exprime une grande fatigabilité ainsi qu'une charge mentale accrue en raison la gestion de la maladie et des traitements et des contraintes qu'elle fait peser sur la gestion de la vie personnelle et professionnelle. Les patients rapportent régulièrement une usure entraînant un état de lassitude, parfois semi dépressif ainsi qu'une attention plus volatile et perte de mémoire faute de concentration. La non prise en compte de cette fatigabilité reste une immense frustration pour les patients qui y voient un manque de considération d'un mal être profond.	La fatigabilité est également présente chez les patients pédiatriques, mais mieux considérée est prise en charge avec la mise en place de plan personnalisé de scolarisation, des aménagements d'emploi du temps, des aménagements de la charge de travail ou un système de temps supplémentaire pour les contrôles et épreuves (1/3 temps supplémentaires).
Activités de la vie quotidienne	
Les DIP sont relativement autonomes dans les activités de la vie quotidienne, ils font leurs courses, leur ménage etc. mais cela leur est parfois coûteux en énergie, ils ont appris à compenser et à aménager leurs activités en fonction de leur niveau de fatigabilité, mais aussi en fonction du risque infectieux. Certains patients rapportent privilégier les achats en ligne pour limiter les contacts extérieurs, notamment durant les périodes épidémiques de type grippe saisonnière, gastroentérite, bronchiolite etc....	
Mobilité/déplacement	
Le plus grand frein pour les patients en termes de mobilité reste le traitement ainsi que son accès. Lorsque ceux-ci sont en traitement par voie intraveineuse cela implique un passage en HDJ tous les mois donc d'avoir un CHU à proximité -ou de s'y rendre- ce qui n'est pas toujours évident lorsqu'un patient effectue un séjour à l'étranger ou dans une autre région que la sienne pour une période de quelques semaines ou mois. A noter qu'en moyenne les patients effectuent pas loin de 70km aller-retour pour recevoir ou aller chercher leur traitement par immunoglobuline à la pharmacie hospitalière. Cela représente une grosse logistique sans compter la perte de temps, il y a un non-sens pour les patients qui bénéficient du traitement à domicile de devoir retourner à la pharmacie du CHU alors qu'ils reçoivent leur traitement à domicile. A l'inverse le traitement par voie sous-cutanée offre une plus grande mobilité mais impose au patient de transporter un volume relativement important de produit et de matériel. Le poids de la logistique représente le premier frein chez les patients en matière de mobilité.	
Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur	
	Le retentissement sur la croissance fait partie des 10 signes cliniques d'alerte d'un DIP. Les problèmes de croissance et de développement psycho moteurs sont ensuite très fortement liés à différents facteurs, tels que la type de DIP, le délai dans le diagnostic et la mise en place du traitement, les traitements rendus nécessaires de ce fait ou en raison de certains symptômes, ...
Chez l'enfant : impact sur la scolarité	
	50% des enfants disposent d'un dispositif d'aménagement scolaire (*source observatoire social des DIP IRIS 2018), 15% recours à une AVS. Pour 52% des enfants concernés, leur DIP impacte leur scolarité de façon assez (38%) ou très (14%) importante. Cet impact consiste essentiellement en de l'absentéisme (85%), il conduit aussi à un retard scolaire (13%) ou à une orientation en établissement spécialisé (11%) De nombreux autres impacts sont évoqués : fatigue, difficulté à manger, déscolarisation en période épidémique... (* données issues de notre observatoire _ 2019)
Vie professionnelle – Capacité de travail	

Une des difficultés que vivent les patients est le caractère fréquemment invisible de leur maladie, qui rend les poussées infectieuses parfois suspectes au regard de leur employeurs et collègues. En effet, 32% des patients ont en moyenne 1 à 3 jours d'absence par mois. Et 11% plus d'une semaine/mois. 16% des patients bénéficient d'un aménagement du poste de travail et 7% d'un aménagement de leur temps de travail. 53% des patients considèrent que leur DIP a (eu) un impact sur leur parcours professionnel (changement de métier, temps partiel, frein dans l'évolution professionnelle) (* données issues de notre observatoire _ 2019)	
Vie affective / Vie sexuelle / Vie sociale / Impacts psychologiques	
Le DIP induit une « peur » de l'autre lors des périodes d'épidémie hivernales. Ce sentiment a été renforcé à la suite de l'épidémie de la Covid-19, certains patients n'arrivent toujours pas à franchir le cap des angoisses générées par cette épidémie, se sont complètement isolés et n'arrivent pas à retourner à une vie sociale et/ou professionnel d'avant crise. Une grande partie d'entre eux se sont profondément repliés sur eux-mêmes et limitent au maximum la fréquentation des lieux publics. Certains refusent même de retourner à l'hôpital de peur de contracter une infection et plébiscitent le domicile. Ils ne rapportent en revanche pas de problème "mécanique" au niveau de leur vie sexuelle, mais parfois une perte de désir du fait de la fatigabilité et d'un corps parfois malmené qui entraîne des complexes.	Chez les enfants, les craintes et les angoisses vis-à-vis des infections sont souvent moins présentes. Elles sont plutôt induites par les parents qui ont une vision plus réaliste du risque infectieux encouru en fonction des situations que l'enfant lui-même. En revanche, certains jeunes patients rapportent le sentiment de se sentir différents en raison des hospitalisations régulières et de la prise de médicaments, notamment du traitement par injection. Ils peuvent vite avoir du mal à nouer des interactions sociales car souvent plus matures que leurs pairs. Chez les adolescents, on note la crainte de ne pas être autonomes (se posent des questions sur les dossiers administratifs, carte vitale, MDPH ...), de ne pas accéder au métier de leur rêve ou de ne pas être suffisamment autonomes financièrement. Ils se posent aussi beaucoup de questions sur l'impact de leur maladie sur leur vie intime et notamment, si leur maladie représentera un frein pour trouver un ou une compagne.
Douleur	
Il convient de distinguer deux types de situations chez les adultes. Dans le cadre du traitement par immunoglobulines, les douleurs au point d'injection par exemple ne sont souvent pas prises en compte et les adultes "n'osent" pas en faire part aux équipes médicales. En revanche pour des douleurs en lien avec des manifestations cliniques et ou infectieuses, la douleur est bien prise en charge. Cependant certains patients rapportent des douleurs rhumatoïdes, musculaires ou articulaires, parfois chroniques sans trouver de solution efficace.	De l'avis général, lorsque l'enfant évoque quelque douleur que ce soit, celle-ci est immédiatement prise en charge et rapidement contrôlée par l'équipe soignante.
Aspects financiers	
Principalement perte de salaire lorsqu'il y a diminution du temps de travail, mais aussi et surtout surprime d'assurance pour accessibilité à l'emprunt.	Non concernés

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

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

SF36 ; WHOQOL-100 ; WHOQOL-26 – à noter que compte tenu de la spécificité de ces pathologies, des cliniciens ont développés des questionnaires plus spécialisés, en partie inspirés des questionnaires ci-dessus.

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 ?

Fatigue intellectuelle ou physique

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.

Dans la plupart des cas la fatigue physique est induite par la fatigue psychique. La peur pour son enfant, la crainte des infections qui dégénèrent, entraînent une hospitalisation, l'incertitude sur l'évolution de la maladie auxquels s'ajoute la gestion des rendez-vous médicaux et du traitement. Sans compter le poids de devoir parfois se justifier de certaines précautions prises auprès de l'entourage ou parfois des structures d'accueil de l'enfant (exemple : l'école) qui ne comprennent pas toujours la justification d'éviction scolaire en fonction du DIP et des épidémies. La charge mentale également des dossiers administratifs, notamment MDPH à faire régulièrement avec l'obligation pour certains parents de devoir se justifier en raison de la méconnaissance et de l'invisibilité de ces maladies rares, voire, l'impression de demander la charité pour des droits sociaux auxquels de facto ils ont droits.

Activités de la vie quotidienne

Les activités de la vie quotidienne s'organisent au rythme des consultations médicales, des traitements et des périodes d'épidémies et d'hospitalisation suites aux diverses infections ou autres manifestations de la maladie. Il est souvent difficile pour les familles de prévoir sur le long terme car elles ont appris à vivre au jour le jour en fonction de l'état de santé de leur enfant. Cela s'applique bien évidemment aussi au proche aidant de type conjoint d'un adulte malade.

Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille

Les DIP sont des maladies génétiques, en revanche seuls 48% des patients disposent d'un diagnostic génétique et parfois c'est tout une fratrie qui est peut-être touchée, voire un parent, puis les enfants ... Sans compter que pour ceux dont la mutation génétique n'est pas connue, l'angoisse prédomine à chaque projet de grossesse avec la crainte que l'enfant à venir soit lui aussi malade.

Mobilité/déplacement

Difficultés liées principalement au traitement, mais également aux consultations quand elles ont lieu dans un centre spécialisé éloigné du domicile familial, voire à l'étranger. Temps de perfusion, gestion du matériel, aller chercher le produit (immunoglobuline) à la pharmacie hospitalière à plusieurs dizaines de kilomètre avec parfois des horaires d'ouverture peu adaptés et peu compatibles avec une activité professionnelle, de l'attente. De plus, il peut arriver que ce médicament soit en tension d'approvisionnement, il est alors délivré en plusieurs fois et non 1 fois par mois, ce qui se traduit par plusieurs allers/retours avec des coûts financiers pour la famille.

Vie professionnelle – Capacité de travail

Elle se déroule au grès des manifestations de la maladie Il n'est pas rare que l'un des parents ou un aidant soit obligé de réduire son activité professionnelle voire même de l'arrêter pour les cas les plus lourds.

Vie affective / Vie sexuelle / Vie sociale / Impacts psychologiques

Les accompagnants réduisent généralement leurs interactions sociales pour préserver le patient. La charge mentale et émotionnelle est souvent considérable. Certains DIP sont transmis par l'X, désignant la mère comme responsable de la transmission du gène défectueux, la culpabilité des mères est parfois terrible.

Aspects financiers

Perte de salaire du parent pour rester au chevet de l'enfant, de façon ponctuelle ou durable, lorsqu'il est sujet à des infections graves, des investigations médicales poussées ou des traitements qui nécessitent des absences de l'école, du domicile.

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.

Immunoglobulines humaines polyvalentes intraveineuses (IgIV)
Immunoglobulines humaines polyvalentes sous-cutanées (IgSC)
Immunoglobulines humaines polyvalentes sous-cutanées facilité (IgSCF)
Antibiotiques
Antifongiques
Antiviraux
Kinésithérapie
DM – pompes pour Immunoglobulines IV – SC & SCF

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

La substitution en immunoglobulines est un traitement prophylactique destiné à apporter aux patients les immunoglobulines (anticorps) qu'ils ne fabriquent pas ou peu. Compte tenu de la durée de vie limitée de ces anticorps (autour de 25 j.), ce traitement est chronique. Du fait de la chronicité de la maladie elle-même, ces patients sont substitués à vie. **Ce traitement permet à nos patients de poursuivre une vie quasi normale et de limiter les infections et leurs conséquences sur leur organisme.**

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les principaux inconvénients sont :

- 1 - **La tolérance** au produit qui diffère d'un patient à un autre.
- 2- **La chronicité du traitement : répétitif**, à vie
- 3- **La disponibilité du traitement** : tensions récurrentes
- 4- **La continuité du traitement** : tensions et changement régulier de marchés hospitaliers

5- La dispensation hospitalière de ce médicament qui suppose des déplacements à l'hôpital pour l'obtenir.

Les Ig sont des médicaments biologiques, élaborés à partir du plasma humain extrait du sang total ou prélevé par aphérèse. Les Ig diffèrent selon les procédés de fabrication des laboratoires qui les élaborent, ainsi que par leur concentration, les adjuvants utilisés, ou les voies d'administration proposées. De ce fait, les Ig ne sont pas des médicaments génériques et l'on observe des différences de tolérance d'un patient à un autre. Les différentes préparations ne sont pas interchangeables et un patient doit pouvoir bénéficier du type de préparation qui lui convient tout au long de sa vie, c'est pourquoi nos patients ont besoin d'une large gamme de médicaments pour répondre aux besoins de tolérance, mais également s'adapter aux modalités d'administration. De plus la pluralité de médicaments disponibles sur le marché français permet de sécuriser l'approvisionnement des Immunoglobulines qui sont en tension permanente depuis une décennie ou de faire face à la défaillance ponctuelle d'un laboratoire.

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

Pour les raisons déjà citées ci-dessus et notamment le besoin de recourir à différentes modalités d'administration des immunoglobulines pour que le traitement s'adapte au mieux à la vie du patient. A l'ère de la médecine personnalisée, il est important pour le patient de pouvoir articuler ses contraintes professionnelles, personnelles avec son traitement. Ce point est d'autant plus important chez les adolescents qui parfois refusent d'aller à l'hôpital chaque mois pour recevoir leur traitement, mais ne veulent pas non plus d'un traitement chaque semaine qu'ils jugent trop contraignant. C'est un véritable problème car ces adolescents, faute de traitement s'infectent avec parfois des conséquences irrémédiables sur leurs organes. Cela permet une meilleure compliance et adhésion au traitement et par conséquent une meilleure efficacité et une réduction du risque infectieux.

Nous souhaitons également insister que cela permet aussi de sécuriser le marché français sur des médicaments en tension permanentes comme nous l'avons déjà mentionné.

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 médicament étudié permet à nos patients de pouvoir recourir au traitement à domicile de façon plus espacée et d'amoindrir le poids psychologique de la répétition du traitement. Nous tenons également à dire que lors des tensions d'approvisionnement l'importation de lots supplémentaires de ce médicament a permis à certains de nos patients de pouvoir bénéficier de leur traitement qu'il n'aurait pu avoir en raison des tensions d'approvisionnement post-épidémie de Covid19. Par ailleurs le système hospitalier de plus en plus en souffrance, pousse les patients chroniques vers le domicile, dans la plupart des cas les équipes soignantes envisagent le domicile par la voie sous-cutanée, ce qui parfois

représente un frein pour nos patients qui ont du mal à supporter psychologiquement la fréquence d'un traitement hebdomadaire. Le médicament étudié permet donc la voie sous-cutanée de façon plus espacée.

Il convient de retenir :

1 - La voie intraveineuse (IV), les Ig sont administrées toutes les 3 à 4 semaines, à l'hôpital, mais plus difficilement à domicile, pour différentes raisons (tolérance d'un traitement sujet potentiellement à des réactions systémiques, nécessité d'un accompagnant, difficulté de trouver des soignants pour accompagner ce traitement à domicile... .

2 - Par voie sous-cutanée (SC), les Ig sont administrées à domicile chaque semaine, ce qui permet une autonomie accrue des patients qui le souhaitent, et répond aussi aux besoins des patients qui ont un accès veineux difficile.

3 – Le médicament étudié permet la voie sous-cutanée (SC), les Ig sont administrées à domicile chaque mois : il allie donc l'intérêt du traitement à domicile pour les patients éligibles et qui le souhaitent, avec l'espacement des intraveineuses.

Les conditions d'administration (choix de l'Ig, voie et lieu d'administration -hôpital ou domicile-) sont des facteurs de santé et qualité de vie essentiels, compte tenu de la récurrence de ce traitement. Ces conditions peuvent évoluer en fonction de l'état de santé du patient, ainsi que de ses besoins au fil de la vie.

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

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

Des effets indésirables locaux (dus au volume injecté) peuvent ne pas être tolérés par tous les patients, même si des patients observent une amélioration au fil du temps.

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 ?

C Offrir un panel de possibilités plus important, permettant aux patients d'avoir un choix thérapeutique en coordination avec son médecin adapté au fil de sa vie et de ses contraintes de santé.

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 continuité du traitement du aux tensions d'approvisionnement qui sont communes à toutes les immunoglobulines polyvalentes

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 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).*

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.

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



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

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

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

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 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

³ 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 ?

Afin de répondre ou préciser auprès de la CT certains points qui pourraient ne pas être suffisamment explicites nous souhaitons rester à disposition pour tout complément d'information.

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 déficits immunitaires primitifs sont des maladies génétiques rares et chroniques du système immunitaire nécessitant un traitement à vie.

Les immunoglobulines sont un médicament vital pour la majorité des DIP.

Les Ig ne sont pas des médicaments génériques et l'on observe des différences de tolérance d'un patient à un autre.

Les conditions d'administration (choix de l'Ig, voie et lieu d'administration -hôpital ou domicile-) sont des facteurs de santé et qualité de vie essentiels, compte tenu de la récurrence de ce traitement. L'alternative que propose HyQvia est extrêmement intéressante car elle permet la substitution à domicile avec un espacement des cures qui réduit le poids du traitement sur le quotidien des patients.

Les besoins en Ig connaissent une croissance durable, ce à l'échelle mondiale. Les tensions sur les Ig sont récurrentes depuis plusieurs années, créant la plus grande insécurité pour les patients qui en dépendent.

Compte tenu de la nature biologique des Ig, les patients ont besoin d'un panel d'acteurs offrant une gamme d'Ig répondant aux besoins médicaux et à la sécurité d'approvisionnement.

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 téléphoniques, 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 ?

Enquête interne IRIS, retour d'expérience patient

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

L'association dispose d'une permanence téléphonique. IRIS répond également aux messages formulés sur notre forum et sur le site internet. Nous avons mis en place un outil de suivi des appels et un tableau récapitulatif des demandes envoyées sur le site web, afin de mieux gérer, comprendre et répondre aux attentes et besoins de nos interlocuteurs. Chaque année IRIS répond à près de 400 sollicitations et les retours et partage d'expérience patients sur les traitements sont nombreux. Nous avons également mené des entretiens individuels auprès des patients utilisant cette molécule.

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

Martine PERGENT – Membre fondateur d'IRIS et Présidente IPOPI

Virginie MILIERE – Déléguée Générale d'IRIS

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 ?

20 h

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

Oui, c'est un travail conséquent ! Il est regrettable que les associations ne soient pas indemnisées pour cela. Certains champs ne sont pas accessibles exemple pour la nature de la structure autre : le préciser n'est pas accessible ainsi que le champs 1.3.1

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

