
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

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

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	12
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	13
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	15
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	16
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	16
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	16
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)	Erreur ! Signet non défini.
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	Erreur ! Signet non défini.
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	Erreur ! Signet non défini.
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	Erreur ! Signet non défini.
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	Erreur ! Signet non défini.
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	18
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	19
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	20
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	21

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

AFSA

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association Française du Syndrome d'Angelman (AFSA)

Site internet :

<http://www.angelman-afsa.org/>

Adresse postale (le cas échéant) :

39 rue de l'Amiral Mouchez 75013 PARIS

Nature de la structure :

☒ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☐ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau :

EFAPPE, GNCHR

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

SIALANAR 320µg/ml

Dénomination commune internationale (DCI) :

BROMURE DE GLYCOPYRRONIUM

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

Traitement symptomatique de la sialorrhée sévère (salivation pathologique chronique) chez les enfants âgés de 3 ans et plus et les adolescents atteints de troubles neurologiques chroniques

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)

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

Les patients sont des enfants atteints de troubles neurologiques sévères (dont la paralysie cérébrale, le **syndrome d'Angelman**, de Rett)

Impact psychologique (l'incontinence salivaire entraîne un isolement et une perte d'estime de soi) : **5**

Impact sur la vie quotidienne : nécessité de changes pluriquotidiens, interférence avec le matériel éducatif utilisé : **5**

Impact sur la scolarité, les activités sportives et ludiques : **4,7**

Situations de rejet de la personne avec incontinence salivaire : **4,3**

Impact sur l'état cutané (irritation de la peau dans la région péri-buccale constamment humide) : **4,0**

Problèmes respiratoires en lien avec des fausses-routes à la salive : **3,7**

Impact global sur le développement psychomoteur **3,7**

En détail (remontée parents) la maladie impacte la vie quotidienne et les activités quotidiennes des enfants :

- **Cliniquement** : Bavage en permanence, causant irritations, odeurs, beaucoup d'acidité sur ses dents, des fausses routes régulières dues à un excès de salive. Cela entraîne une irritation sur le visage, les mains, la bouche... Les effets sont encore plus gênants en hiver : l'enfant peut prendre froid car ces bavoires sont régulièrement très mouillés au niveau du cou. Pour certains des complications respiratoires due à l'aspiration de la salive.
- **Matériellement** : le bavage permanent implique des vêtements mouillés en permanence que l'on doit fréquemment changer. Le matériel scolaire est mouillé comme les jeux,
- **Socialement** : la bave crée une mise à distance, une barrière, une diminution des interactions sociales. Cela engendre un rejet et dégoût des autres enfants. Les conséquences sur le développement psychomoteur sont réelles (l'enfant se sent différent et peut se remettre en question sur sa vie)

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 ?

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.

Quels sont les impacts de la maladie sur les proches ou les aidants ?

Impact sur la vie professionnelle :	4,7
Impact sur la vie quotidienne :	4,5
Entrave à la mobilité	4,5
Fatigue physique ou psychique	4,3
Impact psychologique :	4,3
Aspects financiers :	4,0
Impact sur la vie sociale	3,5
Impact sur la vie affective	3,3

En détail (remontée parents), quelles sont les conséquences de la maladie sur vous et vos proches ou les aidants ?

- **L'impact est quotidien.** La dépendance permanente et l'obligation d'être toujours présent pour faire les tâches quotidiennes et les soins liés au bavage (essuyage constant de la bouche, change avec de nombreuses lessives, nettoyages de toutes les traces de salive à la maison) empêchent l'un des parents d'avoir une activité professionnelle

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.

- **Fatigue physique** engendrée par le change de vêtements réguliers (« ce qui engendre de la manutention »), le nettoyage tout au long de la journée **et psychique** (socialement vs les autres et les marques d'affections à l'enfant (ex l'embrasser) sont impactées par cette bave permanente et en excès.
- **Coût financier** dû aux dégradations sur les vêtements et la maison

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.

- **Patches de scopolamine**
- **Injections de toxine botulique dans les glandes salivaires**
- **Rééducation orthophonique**
- **Cryothérapie**

- **Aucun médicamenteux** (car tout ce qui pouvait être envisagé ne permettait pas une bonne balance bénéfice risque)

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Pas d'avantage évident, car efficacité peu prévisible

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Lorsqu'ils sont efficaces, leur efficacité est courte avec des contraintes notables (ex : toxine botulique avec répétition des injections en milieu hospitalier tous les 3 mois, mode d'administration i.e. injection). Les patch scopolamine sont difficiles à maintenir en place et sont moins efficaces

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

Aucun des traitements disponibles actuellement n'a d'efficacité prévisible, et ils sont contraignants pour les malades

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.

Oui, le libellé semble adéquat



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 ?

- Réduction nette du bavage pendant toute la durée du traitement, et disparition des conséquences évoquées au point 1.1.1.
- Amélioration de la qualité de vie du malade et des proches ;
- traitement facile à administrer et à prendre

⇒ **Les parents font état d'une amélioration majeure** par rapport aux traitements disponibles jusqu'ici

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 ?

- Sécheresse cutanée et des muqueuses, et constipation qui reste gérable
- Ces effets indésirables sont évalués par les parents comme mineurs (83%) ou modérés (17%)
- Léger inconvénient sur la prise qui doit être faite de façon répétée et parfaitement réglée

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 ?

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 ?

2. 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 ?

Sauf si contribution considérée comme non explicite

3. 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.

Evaluation globale

En tenant compte des avantages et inconvénients, ce médicament par rapport au(x) traitement(s) précédent(s), les parents lui accordent une amélioration **majeure**

4. 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.

5. 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 ?

A partir de questionnaires proposés aux aidants familiaux (patients avec Trouble sévère du développement intellectuel rendant très difficile leur contribution directe)

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

Via questionnaires aidants

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

Parents

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 ?

2h de rédaction

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

La démarche utilisée est rigoureuse, il est parfois difficile de « faire entrer » les réponses des aidants dans des cadres stricts (cf : fichier de synthèse de recueils anonymisés des évaluations et verbatim des parents d'enfants ayant reçu le produit)

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

