
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	6
1. Questionnaire – Partie A	7
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	7
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	7
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	9
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	10
1.3. Le médicament évalué	12
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	12
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	13
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	13
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	14
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	15
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	15
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	15
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	16
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	16
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	17
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	18
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	19
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	20
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	21
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	22
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	23

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

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association des parents d'enfants ayant des problèmes de croissance - GRANDIR

Site internet :

www.grandir.asso.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

24 rue Hector Gonsalphe Fontaine
92600 Asnières sur Seine

Nature de la structure :

☒ Association agréée au niveau national

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

Eurordis, FIRENDO, Endo-Ern, Alliance Maladies Rares

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

SOGROYA

Dénomination commune internationale (DCI) :

SOMAPACITAN

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

Traitement substitutif de l'hormone de croissance (GH) endogène chez les enfants et adolescents présentant un retard de croissance dû à un déficit en hormone de croissance (GHD) et chez les adultes présentant un déficit en hormone de croissance (GHD adulte)

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☒ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des 'groupes', par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc. :

- Fatigue intellectuelle ou physique*
- Activités de la vie quotidienne*
- Mobilité/déplacement*
- Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- Vie professionnelle – Capacité de travail*
- Vie affective*
- Vie sexuelle*
- Vie sociale*
- Impacts psychologiques*
- Douleur*
- Aspects financiers*
- Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

La petite taille occasionnée par un déficit en hormone de croissance peut être due à des pathologies multiples ou être idiopathique. Il s'agit la plupart du temps d'un dysfonctionnement de l'hypophyse, avec une difficulté de mise en évidence de la pathologie par le corps médical. Ce sont des pathologies rares, mal connues par de nombreux professionnels de premier recours, laissant les parents (et les enfants) dans une errance médicale, source d'angoisse. Les parents ne sont pas entendus dans de nombreux cas, d'où un retard au diagnostic avec perte de chance pour l'enfant de gagner quelques centimètres et atteindre sa taille cible.

Lorsque le déficit en hormone de croissance est profond et associé à d'autres déficits endocriniens, il peut être à l'origine d'hypoglycémies sévères, sources d'angoisse pour les parents, sources potentielles de complications neurologiques si le traitement est trop tardif, les parents se trouvant confrontés à des situations d'urgence et d'hospitalisations en urgence, parfois itératives. Cette pathologie fait partie des maladies rares endocriniennes.

Le retard de croissance avec déficit en hormone de croissance a un impact fort sur la vie au quotidien des enfants, des adolescents puis des adultes (quand ils ont fini de grandir, puisque l'hormone de croissance, outre le fait qu'elle est indispensable pour la croissance des os longs pendant l'enfance, possède également une activité sur le métabolisme en général et ce, tout au long de la vie).

Certains adultes sont devenus malades (déficitaires en hormone de croissance) après la puberté, pour cause de tumeur ou autre pathologie hypophysaire. Ils décrivent parfaitement l'impact de ce manque d'hormone dans leur vie au quotidien. Tous les patients adultes et les parents d'enfant avec déficit en hormone de croissance relatent une qualité de vie fortement impactée :

- **De niveau 5**, concernant une fatigabilité anormale, un manque d'énergie et d'entrain, une perte de capacité au travail, ou à l'école, avec état quasi dépressif, manque d'efficacité dans les actions (maison et travail), manque de confiance en soi, anxiété, et des troubles de l'humeur. Le manque de concentration est évoqué également.
- **De niveau 5**, pour la gestion du stress et des situations de stress qui est inférieure à la normale, se traduisant par un sentiment de fragilité accru et des difficultés à garder un état d'esprit positif. En tant qu'adulte cela se traduit par une difficulté à faire face aux défis du quotidien, que ce soit dans le cadre du travail ou dans le cadre privé.
- **De niveau 4**, pour la résistance physique, qui est amoindrie chez les enfants et les adultes, d'autant qu'ils peuvent également être atteint d'une insuffisance surrénalienne, avec un impact sur les activités sportives et ludiques.
- **De niveau 4** concernant les moqueries et le harcèlement dû à la petite taille subis par les enfants
- Il existe un manque de libido (chez les adultes)
- Anxiété liée au traitement quotidien avec des injections appréhendées pour leur douleur (chez certains patients)

La maladie a un retentissement sur la vie scolaire des enfants par la fréquence du suivi hospitalier, les hospitalisations possibles et itératives.

Les sorties en classe, les séjours chez les amis, les copains de classe, la famille, sont entravés par l'injection quotidienne du traitement (ceci se rajoutant au traitement pour les autres déficits). La logistique de l'injection (conservation au froid la plupart du temps, traitement injectable avec aiguilles à déclarer lors des voyages en avion) est lourde pour les parents et les adultes.

La pathologie en elle-même n'est pas « douloureuse » mais le traitement, qui consiste en une injection sous cutanée quotidienne est génératrice de douleurs physiques, hématomes au point d'injection, de souffrance morale des parents qui doivent injecter le médicament à leur enfant la plupart du temps.

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 ?

il existe peu de questionnaires pour évaluer la qualité de vie des enfants vivant avec une maladie chronique et plus spécifiquement avec un trouble de la croissance.

le PedsQL est un outil que nous avons utilisé en collaboration avec les membres de la filière FIRENDO dans l'élaboration de documents spécifiques pour évaluer le retentissement du panhypopituitarisme dans la vie au quotidien afin d'enrichir le dossier de demande à la MDPH.

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 ?

L'impact principal est **avant tout une angoisse** par rapport à la santé de la personne traitée et par rapport à son évolution et à son avenir, avec des interrogations persistantes sur la taille adulte et la possibilité de vivre une vie la plus normale possible. La petite taille peut parfois entraîner des

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.

discriminations, il paraît donc évident que les parents et proches s'interrogent et s'inquiètent de voir leurs enfants subir ces discriminations.

La gestion quotidienne de l'hormone de croissance est également une lourde tâche pour les parents d'enfants jeunes et mineurs qui vient s'ajouter à tous les autres difficultés de la vie (travail, famille, difficultés financières...). C'est en effet à eux que reviennent la gestion et l'administration de l'injection quotidienne d'hormone de croissance, ce qui complique évidemment la relation parent/enfant car les parents se retrouvent responsables d'un moment douloureux de la journée dont tous se passeraient bien. Il faut donc y penser, penser aux rendez-vous médicaux, aux ordonnances, au stock de produit, ce qui est très un poids psychologique lourd pour les parents et encadrants.

Certains parents vivent très mal le fait de devoir pratiquer les injections quotidiennes sur leur propre enfant car la « piqure » génère des peurs (sang, douleurs etc..) très difficiles à vivre, pour l'enfant et les parents.

L'aspect financier est dominé par le coût des transports pour se rendre à l'hôpital où l'enfant (ou l'adulte) est suivi, parfois très éloigné du domicile. Les parents doivent s'absenter de leur travail, les adultes prendre une journée de congés pour se soigner. L'achat de matériel réfrigérant pour le transport de l'hormone de croissance représente un coût certain.

En cas de maladie même bénigne, une surveillance accrue de l'enfant ou de l'adolescent est nécessaire, source de stress pour les parents.

Il faut sensibiliser le personnel enseignant (presque impossible !), anticiper les déplacements avec l'hormone de croissance : chaîne du froid, autorisation/ordonnance si avion ou douane.

Et penser à la gestion de l'enfant malade dans la fratrie : ne pas se laisser à être plus occupé par l'enfant malade par rapport aux autres enfants.

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.

Le seul traitement qui peut être efficace dans le déficit en hormone de croissance est l'injection d'hormone de croissance (somatropine) produite par plusieurs laboratoires. Pour les adultes, tous les traitements sont journaliers, pour les enfants, depuis quelques mois, il existe également une hormone longue action sous la forme d'une injection hebdomadaire.

Le soutien psychologique n'est pas prévu dans la prise en charge, il serait pourtant nécessaire dans bien des cas.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les traitements actuellement disponibles, le sont depuis une quarantaine d'années. Les effets bénéfiques sur la taille sont bien connus, en particulier en ce qui concerne la population des enfants déficitaires en hormone de croissance.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

L'injection quotidienne du traitement est un fardeau supplémentaire pour les parents, les enfants et les adultes traités par hormone de croissance.

« Devoir s'injecter un produit tous les soirs est une contrainte malgré le fait que ce traitement m'a grandement aidé à grandir (Je mesure actuellement quasiment 1m70). L'injection quotidienne fait que j'ai des bleus là où je m'injecte... et l'injection n'est pas agréable du tout ! »

La conservation au froid, pour la plupart des hormones de croissance présentes sur le marché est également un inconvénient.

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

Dans le traitement du déficit en hormone de croissance de l'adulte, seule la forme à injection quotidienne est proposée. Les adultes sont dans l'attente depuis des décennies d'une hormone à longue action, leur permettant de faire une seule injection hebdomadaire.

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.

La demande couvre les enfants et les adultes déficitaires en hormone de croissance. Des troubles de croissance, traités par hormone de croissance quotidienne, comme le syndrome de Noonan, le syndrome de Turner, l'anomalie du gène SHOX, le syndrome de Prader Willi bénéficient également d'un traitement par somatropine. En raison de l'avancée majeure qui consiste en une injection hebdomadaire au lieu d'une injection quotidienne, il faut espérer que les laboratoires feront des études pour que ces populations de patients puissent en bénéficier prochainement.



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.

Une autre hormone de croissance Long Acting est commercialisée en France depuis quelques mois, uniquement dans l'indication des enfants et des adolescents. Les parents d'enfants qui ont pu en bénéficier relatent le confort de ne plus devoir penser à faire l'injection tous les jours. La fréquence d'administration est bien plus confortable, les déplacements plus faciles.

« Le rythme quotidien est pesant pour un patient traité depuis 34 ans à raison d'une injection 6 jours sur 7. Il peut être difficile de trouver la motivation pour ne pas lâcher le traitement quotidien, quand il est fait chaque jour ».

*« La première amélioration que j'attends c'est un **poids psychologique réduit**. Penser tous les jours au traitement, mais aussi penser aux ordonnances, aux médicaments, aux rendez-vous médicaux c'est un poids psychologique conséquent, couplé à une douleur physique récurrente qu'il faut gérer au quotidien. Passer à l'hormone de croissance hebdomadaire veut donc dire supprimer de façon significative une partie de ce poids, ce qui aurait un impact psychologique non-négligeable et conférerait une amélioration du bien-être des personnes traitées mais aussi de leurs proches.*

*Ensuite, une amélioration importante serait **une mobilité augmentée**. En effet, l'hormone de croissance hebdomadaire rendrait possible de partir une semaine quelque part sans se préoccuper de devoir prendre son produit ou de sacrifier une semaine de traitement. A ce jour voyager avec*

l'hormone de croissance signifie la garder au froid durant le voyage, donc potentiellement devoir réserver un mode de déplacement plus rapide et des logements avec un frigo ou devoir converser dans une langue que l'on ne maîtrise pas avec les gérants des hébergements pour les convaincre de garder le produit au froid et de le sortir chaque soir pour l'injection. Cela entraîne donc un poids psychologique supplémentaire pour la personne traitée et les proches mais a également un impact financier qui n'est pas facile à assumer pour certaines familles. L'hormone de croissance hebdomadaire permet donc de se libérer de tout ça et de voyager plus librement et plus sereinement. Pour les parents c'est également la possibilité de laisser les enfants et les adolescents partir seuls dans la famille ou avec leur classe sans s'inquiéter de comment le traitement va être respecté et s'il va être respecté. Il suffit juste de faire l'injection avant le départ et le patient peut partir sereinement ».

Certains adultes, lassés par l'injection quotidienne ont arrêté leur traitement, ce qui entraîne une perte de chance (risque accru d'ostéoporose, aggravation des facteurs de risque cardiovasculaires – hypercholestérolémie, etc.) : « je rêve d'éviter les injections quotidiennes, de gagner en liberté (voyages, sorties etc.). Symboliquement, une injection par semaine ne serait plus un calvaire quotidien mais anecdotique pour moi, j'attends depuis des années cette révolution car si j'ai arrêté mon traitement, c'est en partie à cause de ces injections quotidiennes qui me pourrissaient littéralement la vie au bout de tant d'années. »

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 ?

Une autre hormone de croissance Long Acting est commercialisée en France depuis quelques mois, dans l'indication des enfants et des adolescents. Les patients qui en bénéficient (et qui peuvent comparer avec l'injection quotidienne reçue auparavant) relatent une quantité de produit plus importante à injecter, ce qui peut occasionner de douleurs plus importantes. Mais ce n'est pas constant.

Il faudrait qu'un système de cache-aiguille soit proposé. (je ne sais pas si c'est prévu).

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

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



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

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

Fréquence d'administration plus confortable

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 ?

Le recul avec le traitement par hormone de croissance recombinante est d'une quarantaine d'années. Diverses études ont été publiées, qui ne remettent pas en cause la sécurité du produit. Les effets secondaires à court terme sont connus, peu graves. A long terme, il peut y avoir des controverses entre les différents médecins sur lesquelles il est difficile de trancher.

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 ?

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

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).*

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*

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

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.



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 ?

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. ?)

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 ?

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 ?

Je ne vois pas ce que je pourrais apporter de plus.

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 sont le retentissement de la petite taille au quotidien, en raison de la différence par rapport aux autres, de l'existence d'une fatigabilité anormale, d'un manque d'énergie chronique. Il existe également une discrimination et un harcèlement dont les enfants sont victimes tant qu'ils n'ont pas atteint une taille « normale » (normalisation de la taille que le traitement peut obtenir quand il est débuté suffisamment tôt), alors que ce déficit en hormone de croissance s'intègre souvent dans le cadre de déficits hypophysaires multiples.

Les thérapeutiques actuellement disponibles sont adéquates en ce qui concerne leur efficacité mais inadéquates en ce qui concerne la fréquence d'injection, qui est quotidienne et contraignante. Les parents d'enfants, les enfants et les adultes n'en peuvent plus de devoir supporter le rythme quotidien des injections, certains adultes ayant arrêté ce traitement en raison de cette contrainte.

Le médicament Sogroya répond aux attentes des patients en ce qu'il améliore la fréquence des injections en la réduisant par 7 !!!! D'où 7 fois moins de préparation, de logistique, de stress de l'angoisse de la pique et des déplacements facilités, tant sur le plan des loisirs que professionnels.

Les besoins thérapeutiques des autres patients, non déficitaires en hormone de croissance, mais qui sont traités par hormone de croissance, ne seront pas couverts.

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.

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 ?

L'association a fait appel à ses adhérents à l'aide d'un questionnaire. L'impact de la maladie (petite taille chez l'enfant et retentissement de l'absence d'hormone de croissance chez les adultes) est bien documenté dans l'association qui existe depuis 1979.

Par ailleurs des enquêtes sont régulièrement faites et des témoignages recueillis sur le retentissement de la petite taille chez les enfants avec troubles de la croissance. (PROMS)

L'association a créé un groupe d'adhérents composé d'adultes déficitaires hypophysaires : ils s'expriment régulièrement en réunions par visio sur leurs difficultés liées à cette pathologie. Des enquêtes sont également menées dans cette population sur l'impact de la pathologie sur le travail, la vie sociale, affective, relationnelle et toutes les difficultés liées au handicap invisible du panhypopituitarisme.

Les réseaux sociaux, dont le Facebook de l'association sont également un vecteur d'informations et de retour de vécus.

L'association se tient régulièrement au courant des dernières avancées scientifiques avec revue régulière de la littérature et participation aux congrès scientifiques. Tous les traitements actuellement disponibles sont parfaitement connus par l'association.

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

Nous avons fait appel à nos adhérents, parents d'enfants traités par hormone de croissance, adultes ayant été traités ou en cours de traitement car atteints de déficits hypophysaires multiples à l'aide de ce questionnaire à remplir (mais aménagé). Nous avons reçu une trentaine de réponses à ce questionnaire. Par ailleurs, l'association a recherché les publications scientifiques faisant état du traitement par Hormone de croissance Long Acting, en particulier dans les pays qui ont déjà une expérience plus ancienne que la France (Canada en particulier).

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

La présidente de l'association avec relecture par deux autres membres du bureau.

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

Aucune aide extérieure à l'association n'a été reçue.

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

Entre la rédaction du questionnaire spécifique (celui de la HAS est trop « abrupt » pour les parents), l'envoi aux adhérents, les relances, la synthèse de la rédaction, le remplissage du dossier (y compris financier), il faut bien compter une centaine d'heures, au minimum.

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

J'ai été obligée d'adapter le questionnaire pour qu'il soit plus compréhensible par les patients sur certains items qui sont à faire particulièrement ressortir.

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'usagers 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](#).