
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	12
1. Questionnaire – Partie A	13
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	13
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	13
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	18
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	20
1.3. Le médicament évalué	22
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	22
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	22
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	22
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	23
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	23
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	23
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	24
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	25
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	25
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	26
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	27
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	27
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	29
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	30
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	32
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	33

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 Française du Vitiligo

Site internet :

www.afvitiligo.com

Adresse postale (le cas échéant) :

10 rue Lacuée 75012 Paris

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 :

OPZELURA

Dénomination commune internationale (DCI) :

Ruxolitinib

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

Traitement du vitiligo non segmentaire avec atteinte faciale chez l'adulte et l'adolescent de plus de 12 ans

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 ?



Même avec un sourire, qui aimerait ressembler à cela, se voir comme cela dans son miroir chaque matin, être qualifié de « vache normande », de « panda », de « dalmatien » ?

Le vitiligo est une DERMATOSE TRES AFFICHANTE qui touche environ 1 million de personnes en France.

Le vitiligo se traduit par l'apparition des zones de peau dépigmentée dues à la destruction des mélanocytes dans la couche basale de la peau. La dépigmentation est particulièrement impactante et vécue de manière traumatisante par les malades quand elle atteint les surfaces visibles (visage, main, cuisses, jambes, bras) mais aussi invisibles (thorax, dos, zones génitales).

L'étude du Pr Khaled Ezzedine, parue dans le BJD et citée ci-dessus, donne les pourcentages des localisations des zones dépigmentées. Les malades mentionnent les localisations des zones sur :

- Les mains : 85 % des malades,
- Le visage : 76 %
- Les poignets : 69%,
- Les aisselles ; 62%,
- Les pieds : 62%,
- Les coudes : 61%,
- La bouche : 59%.

Les zones les plus gênantes, citées par les malades sont le visage pour 76 % d'entre eux et les mains pour 85 % des malades interrogés.

L'apparition des zones dépigmentées est progressive ou peut-être explosive. La dyschromie entre la couleur naturelle de la peau et la zone dépigmentée apparaît quand 60 % environ des mélanocytes ont déjà disparu. En plus de cette particularité, le vitiligo est une maladie qui peut apparaître à n'importe quel âge de la vie même si les scientifiques s'accordent à dire qu'elle apparaît dans 30% des cas avant 30 ans. La progression de la maladie est totalement incertaine. Le vitiligo peut se développer par poussées incontrôlables, rester non actif puis repartir par poussées inflammatoires sans explication concrètes à ce jour.

Au-delà de l'aspect médical, les malades du vitiligo mentionnent fréquemment des impacts importants sur l'ensemble des dimensions de la vie :

- Personnelle (repli sur soi, isolement, dépression, suicide),

- Scolaire (harcèlement, phobie scolaire, isolement, états dépressifs pouvant conduire au suicide),
- Professionnelle (mise à l'écart, retard/arrêt de la progression salariale, licenciement),
- Intime : (souvent les zones génitales sont atteintes) entraînant repli sur soi, difficultés à entrer en contact, dimension génétique de la maladie conduit à la peur/refus d'avoir des enfants,
- Familiale : isolement des enfants atteints pour ne pas attirer l'attention et ne pas jeter l'opprobre de la maladie sur l'ensemble de la famille et de la fratrie dans les cultures où les mariages sont traditionnellement arrangés. Les répercussions de la maladie affectent directement le patient mais aussi l'entourage (parents, grands-parents, frères-sœurs, etc.)

L'assimilation historique du vitiligo avec la lèpre reste encore fortement présente dans l'inconscient collectif des sociétés et génère des craintes profondes.

Les patients restent trop peu reconnus en tant que malades et le vitiligo en tant que maladie.

Si le vitiligo n'a pas d'impact direct sur la durée de vie du malade, ce qui reste à démontrer scientifiquement (aucune étude n'a été réalisée sur le sujet à notre connaissance dans le cadre d'une cohorte versus une population témoin), l'ensemble des impacts psychologiques conduisent à des situations de dépressions graves pouvant conduire au suicide des malades.

Dans la mesure où aucun traitement n'est disponible avec une AMM spécifique au vitiligo, la communauté médicale se trouve complètement démunie, « évacuée » dans le meilleur des cas la recherche de réponses aux difficultés des malades ou refuse tout simplement de recevoir les malades dans la mesure où les médecins se trouvent dans une véritable impasse thérapeutique face à des malades qui cherchent en permanence des solutions face à leur maladie. Ce sont des malades qui insistent, des malades désespérés.

Les témoignages de malades reçus par l'association font état de refus de prendre en charge un malade sur le seul fait qu'il vient consulter pour un vitiligo alors que bon nombre de ces malades devraient être reçus, auscultés pour vérifier l'état général de la peau du malade, s'assurer que des comorbidités ne sont pas installées ou en train de se développer.

Les recommandations internationales de la Vitiligo Task Force, en cours de publication, préconisent d'effectuer une orientation vers des soutiens psychologiques pour « des malades du vitiligo qui sont connus pour devoir être soutenus psychologiquement » en raison des impacts de la maladie sur les patients.

Le vitiligo a potentiellement et très souvent des conséquences désastreuses sur la qualité de vie des patients touchés. Plusieurs facteurs entrent en compte, ceux intrinsèques à la pathologie tels que la localisation des lésions, leur étendue et leur évolution puis entrent en compte la dimension individuelle telle que l'âge du patient, son environnement socioprofessionnel et son état émotionnel.

Un sentiment d'abandon, de perte de chance se fait ressentir pour ces patients

Le vitiligo a un impact psychologique considérable car il est stigmatisant.

Ce retentissement ne devrait pas être sous-estimé

Les malades du vitiligo ressentent :

- Une angoisse permanente : 66.52 % des malades atteints du vitiligo redoutent l'extension de la maladie,
- La solitude face la maladie : 58.77 % des malades atteints du vitiligo se sentent abandonnés par leur médecin

- La maladie comme un handicap pour tous au cours de leur vie : 42.31 % des malades atteints du vitiligo le vivent comme un handicap quotidien,
- Un repli sur soi dramatique : 58.80 % des malades atteints du vitiligo évitent de pratiquer des activités extérieures
- Une estime de soi très dégradée : 35.81 % des malades atteints du vitiligo ont peur des premières rencontres à cause du vitiligo
- Repli sur soi, isolement, dépression, tentatives de suicide : 45.49 % des malades atteints du vitiligo sont anxieux de se regarder dans un miroir.

Données issues du Livre noir de la tache blanche de l'AFV et de l'Etude du Pr Khaled Ezzedine publié au British Journal of Dermatology 2015

Les derniers chiffres issus de l'étude « All colors, all skin, all dermatoses » conduite en 2023 par les laboratoires Pierre Fabre sont des plus alarmants :

Les malades atteints considèrent le vitiligo comme ;

- Une nuisance dans leur vie personnelle : 77,62 %
- Une vie sexuelle qui a été affectée par sa dermatite (le vitiligo en l'occurrence) : 52,24 %
- Une nuisance dans la vie professionnelle : 70,03 %

De plus, le malade avec son vitiligo :

- A du mal à dormir à cause de sa dermatite (le vitiligo en l'occurrence) : 57,46 %
- Se sent rejeté(e) et ostracisé(e) à cause de sa dermatite (le vitiligo en l'occurrence) : 51,05 %
- Sent que les gens le regarde avec dégoût à cause de sa dermatose (le vitiligo en l'occurrence) : 53,01 %
- Se sent découragé(e) à cause de son état de peau : 58,12 %

Aujourd'hui pour les malades atteints du vitiligo

- C'est la désespérance,
- Des destins brisés,
- Des pertes de chances,
- L'absence de moyens pour aider les malades et leurs familles,
- Un sentiment d'abandon dans le domaine médical, par la recherche, l'absence de prise en charge.

Le tableau de la situation des malades aux taches blanches est donc bien noir et les études les plus récentes ne constatent pas une amélioration des ressentis.

Même si certains souhaitent faire de leur différence une force de leurs zones dépigmentées, un atout de leur tatouages naturels, une beauté unique, ils ne doivent pas faire oublier tous les autres dans leur grande majorité qui :

- Redoutent de se regarder dans la glace le matin,
- Doivent choisir systématiquement des vêtements avec des manches longues pour ne pas brûler sous les rayons du soleil,
- Aller dans des lieux et à des horaires de sortie en fonction de la maladie,
- Craindre l'arrivée de l'été qui va accentuer la différence des couleurs de peau,

- Marcher les yeux vers le sol de peur de croiser des regards inquisiteurs,
- Subir les quolibets, les sobriquets tels que « vache normande », « panda », « dalmatien », etc.
- Appréhender les relations amoureuses et intimes,
- Décider de ne pas avoir d'enfant de peur de transmettre la maladie,
- Être licencié pour « délit de sale gueule »
- Etc.

Au niveau scolaire, le harcèlement, la stigmatisation est bien réelle pouvant conduire à des comportements progressifs d'isolement des élèves atteints de vitiligo et même de phobies scolaires. Plusieurs appels téléphoniques à la ligne d'écoute ont été reçus par des parents désemparés et des enseignants ne sachant pas comment redresser la situation.

Au niveau de la vie affective et de couple et en raison de la localisation génitale et des probabilités génétiques de transmission du vitiligo, les malades considèrent la maladie comme une nuisance dans plus de 77 % des cas. Ils redoutent ou même n'entrent pas en contact intime avec un partenaire. Les malades vont jusqu'à renoncer d'avoir des enfants du fait du risque de transmission génétique.

Au niveau intra familial, les dangers de l'exclusion sont aussi à prendre en compte. Dans les cultures traditionnelles où les mariages sont arrangés par les familles, la présence d'un des membres atteints de vitiligo conduit à cacher sa présence dans la mesure où les risques de ne pas pouvoir « le (ou la) marier » sont réels. Cette situation d'ostracisation vis-à-vis du mariage peut s'étendre aux frères et sœurs du malade atteint du vitiligo en raison des risques de transmission génétique de la maladie.

Au niveau professionnel l'impact peut être tout aussi dramatique, lors des Rencontres Annuelles du Vitiligo, une des adhérentes de l'association relatait le fait d'avoir été licenciée car son employeur lui avait supprimé la possibilité de travailler à 90%, ce temps partiel lui était indispensable pour lui permettre de se rendre à ses séances de photothérapie.

L'Association Française du Vitiligo a été saisie à plusieurs reprises de tentatives de licenciement pour des personnes atteintes du vitiligo et travaillant à l'extérieur, pour des caissiers(ères) vendeurs(euses), serveurs(euses) en raison des remarques des clients ou de refus d'être servis par une personne atteinte de vitiligo par crainte d'être contaminés.

Le vitiligo peut donc être responsable de perte d'emploi, de précarité et on comprend donc comment les patients atteints de vitiligo peuvent souffrir aussi de dépression.

Ces situations extrêmes du domaine professionnel sont présentes tant dans le secteur privé que dans le secteur public en France.

Il est urgent d'améliorer la prise en charge des malades avec un premier traitement autorisé pour le vitiligo.

Il est à noter que le médicament a reçu une AMM européenne pour les adultes et enfants à partir de 12 ans ce qui permet de traiter le vitiligo et de tenter d'endiguer son développement pour une des périodes les plus critiques qu'est l'adolescence.

Il faut également prendre en compte l'aspect financier, si les traitements utilisés ne sont pas pris en charge par la Solidarité Nationale, le coût devient non négligeable, voir rédhibitoire pour le malade dans la mesure où la repigmentation est graduelle et que la durée du traitement qui est aujourd'hui à l'étude est particulièrement longue (plus de 6 mois). Ne pas prendre en compte le Service Médical Rendu (il n'y pas d'autres alternatives avec AMM) rejetterait une fois de plus les malades atteints du vitiligo.

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 ?

Des outils sont disponibles afin d'évaluer le retentissement psychologique de la maladie sur les patients.

Des questionnaires génériques comme EQ-5D ou DLQI. Le questionnaire de qualité de vie couramment utilisé en dermatologie DLQI qui est un questionnaire simple et pratique dont le but est d'évaluer l'impact d'une maladie de peau et de son traitement sur la qualité de vie des personnes atteintes par une telle maladie. Les symptômes à recueillir sont ceux présents au cours des 7 derniers jours.

Il s'agit de questionnaires standards pour les pathologies de dermatologie mais pas adapté au vitiligo.

Le Vitiligo impact scale VIP-11 est un outil spécifique pour mesurer le fardeau du vitiligo, en tant qu'impact de la maladie sur la qualité de vie. Les réponses sont sur une échelle de Likert de 0 (jamais) à 5 (toujours), d'où la somme donne un score VIP sur 100. Un score plus élevé reflète un fardeau du vitiligo plus important

Également le VitiQoL qui est un indice qui valide l'estimation de la qualité de vie des patients atteints de vitiligo et a une relation appropriée avec la gravité de la maladie. Cet instrument permet ainsi au médecin de mieux évaluer les conséquences du Vitiligo sur la vie socioprofessionnelle de son patient.

Développé à partir des données récoltées dans la cohorte ComPaRe, VITs Vitiligo Treatment impact score est le **premier outil de mesure du fardeau du traitement spécifique au vitiligo**. Son utilisation permettra notamment de faciliter une **prise de décision partagée** entre le patient et le médecin, afin d'améliorer la façon dont les malades sont pris en charge. Les soins proposés pourront également être mieux adaptés aux **besoins des malades**, car l'équilibre entre les bénéfices des traitements et leur fardeau sera mieux évalué

L'évaluation de la qualité de vie des patients atteints de Vitiligo n'est vraiment pas dénuée d'importance car les tâches de dépigmentation, bien qu'elles soient asymptomatiques et n'engagent pas directement un pronostic vital, sont souvent responsables de sensation de mal-être, de baisse d'estime de soi, de repli sur soi, de réclusion sociale et voire même de syndrome dépressif.

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)

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.

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 ?

La qualité de vie des personnes souffrant de vitiligo est bien souvent perturbée par l'apparition des zones dépigmentées, en particulier au niveau des parties du corps qui sont souvent découvertes (visage, mains...).

Les difficultés sont nombreuses et ont un impact sur l'entourage professionnel et familial (parents, grands-parents, frères-sœurs, etc.) c'est la raison pour laquelle l'association a mis en place une permanence téléphonique afin de soutenir les malades, les aidants et l'entourage qui sont souvent démunis face à l'annonce de la maladie, son développement, ses impacts et ses répercussions psychologiques indéniables.

Les parents d'enfants atteints de vitiligo sont souvent inquiets, il faut donc les rassurer. Peur de voir la peau de leur enfant se dépigmenter sans pouvoir faire quelque chose, cela entraîne une quête infinie d'un traitement possible de la maladie : errances diagnostiques, errances dans les traitements, essais de traitements non validés allant jusqu'aux séances de sorcellerie et de désenvoûtement, etc.

Peur de transmettre la maladie quand la future maman ou le futur papa est atteint de la maladie avec des renoncements à avoir des enfants.

L'adolescence pose également problème, c'est un des axes de l'association afin de les aider elle a mis en place des groupes de paroles dont l'objectif est d'échanger entre eux avec l'accompagnement d'une psychologue clinicienne bénévole.

Le cercle familial est très fréquemment largement impacté par la maladie quand l'une des composantes du cercle familial est atteinte de vitiligo (enfant ou parent). Les choix liés à la maladie deviennent prioritaires :

- Lieux de vacances évitant le soleil,
- Activités de plein air restreintes,
- Habits longs systématiques pour éviter l'exposition solaire,

L'ensemble de la cellule familiale vit au rythme de la maladie du vitiligo.

Toutefois, même dans ces situations, la famille va devoir reconforter et redonner confiance au patient.

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.

Actuellement, il n'y a aucun médicament ayant une AMM pour le vitiligo et donc aucun remboursement. De plus la prise en charge médicale est très faible laissant les malades du vitiligo dans un « no man's land » dangereux pour leur équilibre psychologique, pour leur santé avec des traitements « exotiques » qui mêlent plantes inconnues ou dangereuses aux dosages inconnus, pratiques magiques, etc.

Les commerçants des médecines parallèles connaissent le désarroi des malades du vitiligo et savent exploiter leurs faiblesses en préconisant des plantes médicinales connues pour leurs propriétés photosensibilisantes sans indiquer de dosages ou de temps d'exposition au soleil, des mélanges sans aucune indication de composition (mélange marocain, médecine ayurvédique indienne, marbre blanc tunisien chauffé, etc.), des séances de sorcellerie, des régimes alimentaire sans aliment blanc, etc.

Le vitiligo est une pathologie oubliée qui n'a pas fait l'objet que de très peu de recherche et dont les malades ont l'impression qu'elle n'intéresse pas la communauté médicale et scientifique. Cette pathologie ne dispose toujours pas de traitement ayant reçu une autorisation de mise sur le marché. Elle est et reste à ce titre une maladie orpheline de traitement.

Des traitements sont alors souvent utilisés hors indication ce qui peut être dommageable pour les patients qui ne sont de ce fait pas pris en charge dans le cadre d'un protocole validé et doivent supporter les coûts des médicaments et des consultations.

Ils sont composés de soins locaux, sur le visage, ou encore des traitements à base de cortisone par voie locale ou générale pour des patients qui sont en phase progressive, est également utilisé le tacrolimus associé à la photothérapie pour le visage.

L'impact sur la qualité de vie du patient ne doit pas être négligé dans le cadre du vitiligo, le soutien psychothérapeutique et des traitements antidépresseur peuvent s'avérer nécessaires pour que les patients dont le vitiligo a de trop grands retentissements sur leur vie socioprofessionnelle ou familiale, puissent entrer dans le processus d'acceptation de leur maladie.

L'impact physique des traitements par anti-dépresseurs est le plus souvent incomptable avec le suivi d'une scolarité régulière, la conduite d'un véhicule personnel, et certaines forme de travail (conduite d'engin de chantiers, responsabilité en matière de sécurité, etc.).

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le vitiligo est une maladie orpheline de médicament, il n'y a pas de traitement reconnu et donc aucune prise en charge thérapeutique ni financière

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Il n'y a pas de traitement actuellement disponible pour le vitiligo.

Le tacrolimus, qui est actuellement utilisé hors AMM, a des inconvénients non négligeables. La galénique qui l'intègre est une crème grasse formulée à base de vaseline et de paraffine, qui chauffe et fait rougir la peau,...

Les dermocorticoïdes peuvent difficilement être utilisés sur le visage.

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

Il n'y a pas de traitement actuellement proposé pour le vitiligo dans la mesure où aucune AMM existe pour le vitiligo.

Les traitements utilisés hors AMM Ils représentent un coût financier non négligeable pour le malade dans la mesure où les traitements au long cours, s'étalent sur plusieurs mois - 6 mois pour constater s'il y a lieu de poursuivre ou non le traitement entrepris. (Recommandations internationales du collège d'experts en cours de publication par Vitiligo Task Force à laquelle des représentants des malades ont été conviés à participer).

L'accès aux dermatologues est également un souci supplémentaire en raison de la désertification médicale qui touche particulièrement la profession, renforcé en cela par la réticence, si ce n'est le refus des dermatologues de traiter un vitiligo en raison de l'absence de traitement avec une AMM spécifique.

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.

Les remontées récoltées auprès des membres du comité scientifique de l'Association Française du Vitiligo qui ont participé aux essais cliniques et traité des patients en France font état :

- D'un traitement agréable et facile à appliquer notamment sur le visage
- Pas d'effet secondaire réellement ressenti,
- Une efficacité apparaissant effectivement au minimum après 6 mois de traitement
- Une efficacité certes sur le visage mais plus lente sur les autres zones dépigmentées

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 ?

Il est impossible d'effectuer une comparaison entre le médicament étudié et les traitements actuels dans la mesure où aucun médicament n'a encore reçu d'AMM pour le vitiligo et que les traitements utilisés n'ont reçus d'AMM dans le cadre du vitiligo.

Les seules remarques issues des essais cliniques :

- Le traitement étudié à une action limitée sur les mains et les pieds.
- Le traitement est au long cours et demande une bonne observance de la part du malade (d'où l'importance d'une galénique bien acceptée par le malade en cas de traitement topique sur le long cours).

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 ?

Au regard des essais cliniques réalisés multicentriques et en double aveugle versus placebo, ce traitement a fait la preuve d'un bénéfice en termes d'efficacité et de tolérance en monothérapie.

Les dermatologues vont donc pouvoir prescrire ce traitement, ils auront ainsi et enfin une solution à proposer aux malades atteints de vitiligo.

Au vu des résultats des essais cliniques présenté par le Pr Thierry Passeron ce nouveau traitement est efficace en monothérapie, la galénique facilite l'application ce qui est un garant de bonne observance pour un traitement long.

Nous notons que la prescription peut s'effectuer dès 12 ans. Ce nouveau traitement couvre donc une partie importante des malades atteint de vitiligo dont les adolescents particulièrement vulnérables avec cette maladie très affichante.

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 principale crainte est l'absence d'accès à un traitement avec AMM pour le vitiligo qui ne soit pas remboursé alors que son efficacité est démontrée scientifiquement.

Il n'existe pas de traitement actuellement avec AMM en France. Et tout aussi important, il n'existe aucun traitement qui soit pris en charge par la solidarité nationale pour le vitiligo.

Dans la situation d'absence d'AMM pour le vitiligo, nous sommes en présence de l'évaluation d'un Service Médical Rendue et non d'une Amélioration d'un Service Médical Rendue.

Il est crucial de reconnaître le niveau d'efficacité et donc un vrai SMR pour être en ligne avec les données des études cliniques du médicament qui fait l'objet de cette contribution et pouvoir espérer un faible reste à charge pour une population de malades en attente depuis des décennies d'un traitement homologué pour leur maladie.

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. ?)

Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte.

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 ?

Il paraît important de donner la parole au patient atteint de vitiligo qui jusqu'à présent n'a pas été entendu, pour partager l'impact humain important et méconnu de cette maladie sur le quotidien des malades

L'Association Française du Vitiligo est une association, créée il y a 30 ans et reconnue par ses adhérents. Association a mis en place un comité scientifique qui l'accompagne qui lui permet d'avoir une communication de grande qualité et scientifiquement vérifiée.

L'enjeu de l'étude aujourd'hui est important. Ce nouveau traitement est une « révolution » pour les patients. Aujourd'hui « Le vitiligo ça se soigne » obtenir le remboursement pour pouvoir se traiter apporterait un réel soulagement et enfin des perspectives thérapeutiques à mettre en œuvre par les dermatologues.»

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.

Le vitiligo engendre des situations humaines catastrophiques : perte de confiance, isolement, stigmatisation, ostracisation, dépression, tentative de suicide. Trop de souffrances en raison de l'insuffisance des prises en charge, du regard des autres, de la visibilité de la maladie. Qui aimerait ressembler à « une vache normande » ?

Conséquences graves sur la scolarité allant jusqu'à des rejets de la collectivité, harcèlement et ostracisation sur les réseaux sociaux, conséquences dans la vie professionnelle pouvant aller jusqu'au licenciement, vie familiale impactés par des choix de vie liés à la maladie (lieux de vie, refus d'avoir des enfants, difficultés dans les relations intimes, etc.)

Aujourd'hui, le traitement étudié est un immense espoir pour tous les patients avec l'arrivée, tant attendue, du premier traitement avec une AMM pour le vitiligo.

Nous tenons à le souligner à nouveau : il n'existe pas encore à ce jour en France un tel médicament.

Il va enfin va permettre de répondre aux attentes sous réserve qu'il puisse être remboursé et permettre aux dermatologues la prise en charge du patient atteint de vitiligo avec un traitement reconnu officiellement.

La question qui reste en suspens est la prescription par le médecin généraliste, compte tenu de l'accès difficile au dermatologue aujourd'hui dans le parcours de soin. C'est un parcours proche de celui du combattant que doit mener le malade du vitiligo, en effet, il lui faut consulter un dermatologue pour traiter sa maladie et se voir délivrer un médicament avec AMM.

Les études prises en compte dans le cadre de cette contribution réalisée par les bénévoles de l'AFV sont entre autres :

Kruger, Schallreuter, [Cumulative Life Course Impairment in Vitiligo](#), 24 May 2013

Kriuger et al., [Disease-related behavioral patterns and experiences affect quality of life in children and adolescents with vitiligo](#), January 2014

Ezzedine et al., [Vitiligo](#), 15 January 2015

Livre noir de la tache blanche https://assovitiligo.sharepoint.com/:b:/s/FichiersAFV/EanhEngZMBNHhJk-mOISi8wsBE_YtAl-t5N5vuA86HKYCXw?e=SDkh2h

Nguyen et al, [The psychosocial impact of acne, vitiligo, and psoriasis: a review](#), 20 October 2016

Chiarella, [Vitiligo susceptibility at workplace and in daily life: the contribution of oxidative stress gene polymorphisms](#), 22 October 2019
Kruger et al., [Increased levels of anxious-depressive mood in parents of children with vitiligo](#), January 2018
Kumar, [The study of psychological burden of Vitiligo and impact of Vitiligo on Psychiatric Morbidity](#), 2021
Ezzedine et al., [Psychosocial Effects of Vitiligo: A Systematic Literature Review](#), 23 September 2021

5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques



Si vous souhaitez compléter les informations que vous jugez utiles pour la Commission de la transparence, merci d'utiliser cette partie de façon libre.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire



Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, appels téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

D'après les données issues de la littérature connues par les bénévoles de l'association mais également au travers du vécu de nos adhérents via notre permanence téléphonique, les mails reçus, les interactions avec les réseaux sociaux de l'AFV (Facebook + de 12000 followers, Instagram + de 2500 followers), les témoignages au cours des réunions annuelles du vitiligo, nos échanges au sein des groupes de paroles et les retours des membres du Comité Scientifique de l'association

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

Retour des patients inclus dans l'essai clinique au travers des membres du Comité Scientifique de l'AFV

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

Les membres du conseil d'administration de l'Association Française du Vitiligo :

Martine Carré, Présidente

Anne Lamblin administratrice bénévole

Jean-Marie Meurant administrateur bénévole

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

Nous n'avons reçu aucune aide

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

100 h de contributions bénévoles

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

Temps de rédaction

Niveau des détails financiers sur le financement de l'association qui demande un travail conséquent)

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

