
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

Validé par la CEESP et la CT les 8 et 9 nov. 22

Mise à jour 12 juillet 2023

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	8
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	9
1.3. Le médicament évalué	12
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	13
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 ?	14
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	14
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	18
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.



Tous 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.

N.B. 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

La CT souligne l'intérêt de disposer d'informations spécifiques à toutes les tranches d'âges, en particulier les enfants et les adolescents.

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 PUBLIÉ.

Identité de l'association ou du groupe

Association des Myasthéniques Isolés et Solidaires AMIS

Site internet :

<https://www.myasthenie.fr>

Adresse postale (le cas échéant) :

4, impasse des marcassins
60520 LA CHAPELLE EN SERVAL

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

X Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

European Myasthenia Gravis Association EUMGA

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

ZILBRYSQ

Dénomination commune internationale (DCI) :

ZILUCOPLAN

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

Traitement de la myasthénie auto-immune généralisée chez les patients adultes présentant des anticorps anti-récepteurs à l'acétylcholine

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 myasthénie, en raison de sa nature imprévisible, variable d'une journée à l'autre voire dans la même journée et incapacitante, a des impacts profonds sur la vie des personnes atteintes de cette maladie. Voici quelques-uns des aspects qui peuvent influencer leur quotidien :

1. **Limitations physiques** : Les symptômes tels que la fatigue musculaire, la faiblesse et les problèmes oculaires peuvent entraîner des limitations physiques importantes. Les activités quotidiennes, y compris les gestes simples comme se laver, préparer un repas ou sortir, peuvent devenir des défis.
2. **Incapacité de maintenir une activité professionnelle normale** : En raison de la fatigue physique et des fluctuations symptomatiques, il peut être difficile pour les personnes atteintes de myasthénie de maintenir une activité professionnelle normale. Les ajustements d'horaire et de poste peuvent être nécessaires, mais cela peut également affecter l'évolution de leur carrière.
3. **Impact sur la vie sociale** : La myasthénie peut entraîner un isolement social. Les difficultés à participer à des activités sociales, les limitations de mobilité et les problèmes de communication peuvent rendre les interactions sociales difficiles, conduisant parfois à un sentiment de solitude.

4. **Contraintes de mobilité et de conduite** : Les problèmes musculaires, y compris la fatigue oculaire, peuvent limiter la capacité de conduire. Les patients peuvent devoir faire face à des ajustements tels que passer à des véhicules automatiques ou dépendre davantage des transports en commun.
5. **Adaptations alimentaires** : Les problèmes de déglutition peuvent entraîner une lenteur au cours des repas, et le risque de fausses routes peut nécessiter des ajustements dans le choix des aliments et la manière de les consommer.
6. **Impact sur la vie familiale** : Les relations familiales peuvent être affectées en raison des contraintes physiques et émotionnelles imposées par la maladie. Les membres de la famille peuvent également ressentir le poids émotionnel de voir un être cher lutter contre une maladie chronique.
7. **Impact psychologique** : Vivre avec une maladie chronique peut entraîner des difficultés psychologiques telles que le stress, la dépression et l'anxiété. L'incertitude liée à l'évolution des symptômes peut également avoir un impact sur le bien-être mental.
8. **Besoin de soutien médical continu** : Les personnes atteintes de myasthénie nécessitent souvent un suivi médical régulier et des traitements spécialisés, ce qui peut représenter un fardeau en termes de temps et d'efforts.
9. **Incompréhension et stigmatisation** : En raison de la nature invisible de nombreux symptômes, les personnes atteintes de myasthénie peuvent faire face à des incompréhensions de la part de leur entourage, ainsi qu'à une stigmatisation due au manque de sensibilisation générale sur la maladie.

Il est essentiel de fournir un soutien adéquat aux personnes atteintes de myasthénie, tant sur le plan médical que sur le plan émotionnel. Les professionnels de la santé, les groupes de soutien et les ressources éducatives peuvent jouer un rôle crucial pour aider les patients à faire face aux défis liés à cette maladie chronique.

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

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

MG-ADL, MG-QOL-15, MG-COMPOSITE, EURO-QOL, EQ-5D

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*

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.

- Mobilité/déplacement
- Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille
- Vie professionnelle – Capacité de travail
- Vie affective
- Vie sexuelle
- Vie sociale
- Impacts psychologiques
- Aspects financiers
- Autres aspects

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

Les impacts de la myasthénie sur la vie des aidants sont tout aussi significatifs, car ils sont souvent confrontés à des défis émotionnels, physiques et organisationnels. Voici quelques-uns des aspects que les aidants peuvent rencontrer :

1. **Charge émotionnelle** : Les aidants peuvent ressentir une charge émotionnelle intense en raison de la nature imprévisible de la maladie. L'inquiétude constante pour la santé du patient, la frustration face aux limites imposées par la maladie et la compassion pour les difficultés rencontrées peuvent être émotionnellement épuisantes.
2. **Adaptations au quotidien** : Les aidants doivent souvent s'adapter aux changements constants dans la vie quotidienne du patient. Cela peut inclure l'ajustement des horaires, la prise en charge des tâches quotidiennes que le patient peut trouver difficile, et la gestion des imprévus liés à la maladie. Il ne faut pas oublier également les contraintes liées à l'accompagnement du patient à ses rendez-vous médicaux.
3. **Soutien physique** : En fonction de la gravité de la maladie, les aidants peuvent être amenés à assister physiquement le patient dans les activités quotidiennes, ce qui peut être exigeant physiquement pour eux.
4. **Impact sur la vie sociale** : La maladie peut également limiter la vie sociale des aidants, car ils peuvent se sentir obligés de restreindre leurs propres activités pour prendre soin du patient. Cela peut entraîner un isolement social et un impact sur leurs relations personnelles.
5. **Stress financier** : Les coûts liés au traitement et à la gestion de la maladie peuvent créer un stress financier pour les aidants, en particulier si le patient est incapable de travailler ou s'il y a des besoins médicaux coûteux non couverts par l'assurance.
6. **Fatigue** : La nécessité de fournir un soutien constant peut entraîner une fatigue physique et mentale chez les aidants, en particulier s'ils jonglent entre le travail, les responsabilités familiales et les soins.
7. **Impact sur la carrière** : Certains aidants peuvent être contraints de réduire leurs heures de travail ou de faire des choix de carrière en raison des responsabilités accrues liées à la prise en charge du patient.
8. **Sentiments de culpabilité** : Les aidants peuvent parfois ressentir des sentiments de culpabilité s'ils se trouvent incapables de répondre à tous les besoins du patient ou s'ils ressentent le besoin de prendre du temps pour eux-mêmes.
9. **Manque de reconnaissance** : Le rôle d'aidant est souvent exigeant et peu reconnu socialement. Les aidants peuvent se sentir isolés et sous-estimés dans leur contribution.

Il est essentiel que les aidants reçoivent un soutien adéquat, que ce soit par le biais de groupes de soutien, de ressources éducatives ou de conseils professionnels. Reconnaître et aborder ces défis

peut contribuer à améliorer la qualité de vie des aidants et à renforcer leur capacité à prendre soin de leurs proches atteints de myasthénie.

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.

Il est regrettable de constater qu'à ce jour, il n'existe pas de traitement curatif pour la myasthénie. Les options thérapeutiques actuelles se concentrent principalement sur la gestion des symptômes et la modulation du système immunitaire. Voici une brève explication des approches thérapeutiques mentionnées :

1. **Anticholinestérase** : Traitement de première intention, ces produits améliorent la transmission aux muscles de l'influx nerveux en diminuant l'action de l'acétylcholinestérase. L'effet est de courte durée et parfois s'accompagne d'effets secondaires indésirables.
2. **Corticothérapie** : Les corticostéroïdes, tels que la prednisone, sont souvent prescrits pour réduire l'inflammation et la réaction immunitaire. Cependant, ils peuvent entraîner des effets secondaires à long terme et nécessitent une surveillance étroite.
3. **Immunosuppression/Immunomodulation** : Certains médicaments, tels que l'azathioprine, le mycophénolate mofétil ou le tacrolimus, sont utilisés pour moduler ou supprimer la réponse immunitaire. Cela vise à réduire les attaques auto-immunes contre les récepteurs neuromusculaires.
4. **Cures d'immunoglobulines** : Les immunoglobulines, généralement administrées par voie intraveineuse, sont des protéines qui peuvent moduler l'activité du système immunitaire. Les

cures d'immunoglobulines sont parfois utilisées pour soulager les symptômes de la myasthénie et doivent être répétées régulièrement.

5. **Aphérèses** : Les aphérèses consistent à filtrer le sang pour éliminer certains composants, y compris les anticorps responsables de la myasthénie. C'est une procédure qui peut être utilisée dans certains cas graves ou résistants aux autres traitements.

Ces traitements visent à améliorer la qualité de vie en atténuant les symptômes et en ralentissant la progression de la maladie. Cependant, chaque personne réagit différemment aux traitements, et leur efficacité peut varier.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Il est important de souligner l'importance des traitements symptomatiques dans la gestion quotidienne de la myasthénie, contribuant ainsi à améliorer la qualité de vie des patients en atténuant les symptômes, même s'ils ne fournissent pas de guérison.

Les immunosuppresseurs, en agissant sur le système immunitaire, offrent une approche à long terme pour calmer la réponse auto-immune. Cela peut contribuer à réduire la fréquence et la sévérité des crises, aidant ainsi à maintenir une meilleure stabilité sur le plan symptomatique.

Les nouveaux traitements tels que les anti-CD20, bien que réservés en seconde ou troisième intention, offrent des résultats encourageants dans certains cas. Ces médicaments, en ciblant spécifiquement certaines cellules du système immunitaire, peuvent aider à moduler la réponse auto-immune, offrant ainsi de nouvelles perspectives de traitement.

Les cures d'immunoglobulines et les plasmaphérèses, bien que contraignantes, sont souvent utilisées pour fournir un soulagement rapide en cas de crises aiguës. Il est à noter que la mise en place des cures d'immunoglobulines en hospitalisation à domicile simplifie la vie des patients. Cependant, la durée limitée de cet effet souligne la nécessité de solutions plus durables pour la gestion à long terme de la maladie.

En fin de compte, la combinaison appropriée de ces différentes approches thérapeutiques doit être déterminée en fonction des caractéristiques spécifiques de chaque patient, de la sévérité de la maladie et de la réponse individuelle aux traitements. Une approche personnalisée, en collaboration étroite avec les professionnels de la santé, peut aider à optimiser la gestion de la myasthénie et à améliorer la qualité de vie des personnes touchées.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Il est regrettable de constater les limitations et les effets secondaires souvent associés aux différents traitements de la myasthénie. Ces aspects peuvent avoir un impact significatif sur la qualité de vie des patients. Voici quelques points supplémentaires concernant chaque type de traitement mentionné :

- **Traitements symptomatiques** : La courte durée d'efficacité et les effets secondaires tels que la diarrhée, les crampes, les fasciculations et la salivation exacerbée représentent des défis importants pour les patients. Ces symptômes peuvent non seulement être inconfortables, mais aussi perturber la vie quotidienne, soulignant ainsi la nécessité de solutions plus durables.
- **Corticothérapie au long court** : Les effets secondaires importants, y compris les modifications de l'aspect physique et les risques connus tels que le diabète, l'ostéoporose, la cataracte et les troubles de l'humeur, peuvent entraîner une mauvaise acceptation de cette thérapie par les patients. Les implications à long terme peuvent être un frein significatif à son utilisation continue.

- **Immunosuppresseurs** : La suppression ou la modulation du système immunitaire par les immunosuppresseurs expose les patients au risque d'infections opportunistes. La nécessité d'une immunodépression constante peut être préoccupante et nécessite une gestion attentive.
- **Anti-CD20** : La nécessité d'un séjour hospitalier pour l'administration de ces médicaments peut être contraignante pour les patients. Cela peut également entraîner des interruptions dans la vie quotidienne et des ajustements importants dans le mode de vie.
- **Cures d'immunoglobulines ou plasmaphérèses** : Ces procédures, bien qu'efficaces, nécessitent également une hospitalisation ou, dans de rares cas pour les cures d'immunoglobulines, une hospitalisation à domicile. Cela peut créer des défis logistiques et avoir un impact sur la qualité de vie des patients.

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

L'absence de traitement en auto-injection sous-cutanée pour la myasthénie représente en effet une lacune dans les options thérapeutiques actuelles.

Les traitements nécessitant des visites fréquentes à l'hôpital peuvent être source de stress, de fatigue et de contraintes, tant pour les patients que pour leurs aidants.

Une option de traitement permettant l'auto administration à domicile pourrait apporter plusieurs avantages significatifs pour améliorer la qualité de vie des personnes atteintes de myasthénie :

- **Confort et Autonomie** : L'auto-injection sous-cutanée offrirait aux patients une plus grande autonomie dans la gestion de leur traitement, réduisant ainsi la dépendance aux visites hospitalières régulières. Cela pourrait améliorer considérablement leur qualité de vie en éliminant la nécessité de déplacements fréquents.
- **Réduction du Stress et de la Fatigue** : Éviter les déplacements fréquents à l'hôpital peut réduire le niveau de stress associé à ces visites et minimiser la fatigue liée aux trajets et aux attentes.
- **Impact Positif sur les Aidants** : La possibilité pour les patients de gérer leur traitement à domicile peut alléger la charge qui pèse sur les aidants. Moins de déplacements hospitaliers signifie moins de contraintes logistiques pour les personnes qui fournissent un soutien.
- **Meilleure Conformité au Traitement** : Une méthode d'auto-injection peut également améliorer la conformité au traitement, car les patients peuvent plus facilement intégrer cette pratique dans leur routine quotidienne.
- **Amélioration de la Qualité de Vie** : La commodité et la flexibilité offertes par l'auto-injection peuvent contribuer à une meilleure qualité de vie globale en permettant aux patients de mieux gérer leur maladie de manière plus adaptable.

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 secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

L'introduction du ZILBRYSQ en auto-injection sous-cutanée sur le marché pour la myasthénie représente une alternative prometteuse. Ce produit a le potentiel d'améliorer considérablement la qualité de vie des patients en diminuant la nécessité de fréquents déplacements à l'hôpital, ce qui contribue à atténuer le stress et la fatigue associés à ces visites. Il est également important de prendre en compte les coûts engendrés par ces déplacements, tels que les frais de consultation et de transport, qui sont supportés par la collectivité.

Cette approche peut également apporter des avantages aux aidants, offrant aux patients une plus grande autonomie dans la gestion de leur traitement. En réduisant la dépendance aux visites hospitalières, elle permet aux patients de mieux intégrer la gestion de leur maladie dans leur vie quotidienne, tout en contribuant à une utilisation plus efficace des ressources médicales.

En somme, l'avènement de ZILBRYSQ en auto-injection sous-cutanée offre une perspective positive pour améliorer la vie des personnes atteintes de myasthénie, tout en tenant compte des aspects pratiques, économiques et de l'impact positif sur les aidants.

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 ?

Les contraintes liées au nombre de seringues à transporter (1 par jour) représentent un défi significatif pour les patients atteints de myasthénie, notamment avec un traitement en auto-injection sous-cutanée. Ces contraintes englobent plusieurs aspects impactant la vie quotidienne des patients :

- **Encombrement et Logistique** : Le transport quotidien d'un nombre considérable de seringues peut être encombrant et nécessiter une planification minutieuse. Cela peut avoir des répercussions sur la mobilité des patients et rendre les déplacements plus complexes.
- **Gestion de Stock** : Assurer un approvisionnement adéquat en seringues peut être source de préoccupation. Les patients doivent veiller à disposer d'un nombre suffisant de seringues à tout moment, ce qui peut impliquer une gestion méticuleuse de leur stock pour éviter les interruptions de traitement.
- **Gestion des déchets** : Les seringues usagées doivent être éliminées de manière sûre. Les patients doivent disposer de conteneurs à déchets médicaux spécifiques pour éliminer leurs seringues usagées.
- **Options de Retour aux Professionnels de la Santé** : Certains systèmes de santé proposent des programmes de retour de seringues usagées aux professionnels de la santé. Cela permet une élimination sécurisée tout en offrant aux patients une option pratique.
- **Contraintes Pratiques** : Le besoin de transporter plusieurs seringues peut entraîner des contraintes pratiques dans la vie quotidienne, que ce soit au travail, à l'école ou lors d'activités sociales. Cela peut également soulever des préoccupations quant à la discrétion de l'administration du traitement en public.
- **Impact sur la Qualité de Vie** : La gestion quotidienne de nombreuses seringues peut avoir un impact psychologique et émotionnel sur les patients, ajoutant une charge supplémentaire à leur vie quotidienne déjà affectée par la 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. ?)

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données



La soumission d'un « protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données » (PUT-RD) est une obligation légale pour le laboratoire pharmaceutique qui soumet une demande d'accès précoce. Ces données d'utilisation vont renforcer les connaissances sur le médicament en pratique clinique habituelle.

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.



Le PUT-RD n'est pas publié sur notre site. La HAS peut décider de le transmettre tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et

³ Également appelées « variables d'intérêt »

ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

- ☐ Oui
- ☐ Non

Avez-vous des commentaires ou des compléments relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



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

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 entendu pas limitative.

Dans ce document, nous avons examiné divers aspects liés à la myasthénie, une maladie auto-immune caractérisée par une faiblesse musculaire. Nous avons détaillé les répercussions de cette maladie sur la vie des patients, mettant en évidence les défis physiques, sociaux et professionnels auxquels ils font face.

Les traitements actuels, bien qu'orientés vers le soulagement des symptômes, présentent des limites en termes d'efficacité à long terme et d'effets secondaires, particulièrement avec la corticothérapie et les immunosuppresseurs. Des options plus récentes, comme les anti-CD20, ont été évoquées, montrant des résultats prometteurs malgré la nécessité de séjours hospitaliers. Les cures d'immunoglobulines et les plasmaphérèses, bien qu'efficaces rapidement, sont également contraignantes et impliquent souvent une hospitalisation.

Une note positive a été mentionnée en ce qui concerne l'absence actuelle de traitements en auto-injection sous-cutanée sur le marché pour la myasthénie. Une telle alternative pourrait considérablement améliorer la qualité de vie des patients en réduisant la nécessité de fréquents déplacements à l'hôpital, soulageant ainsi le stress et la fatigue liés à ces visites. Cette approche pourrait également bénéficier aux aidants, offrant aux patients une plus grande autonomie dans la gestion de leur traitement.

En résumé, bien que des défis subsistent dans le traitement de la myasthénie, des avancées thérapeutiques, notamment des options en auto-injection, pourraient apporter des améliorations significatives dans la vie quotidienne des personnes touchées par cette maladie chronique.

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)

Rien à ajouter

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 ?

- Expériences des membres de notre association (forums d'échanges et discussions privées sur le groupe Facebook).

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

- Enquête auprès de nos membres et échanges avec des personnes ayant pu bénéficier de ce traitement.

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

- L'équipe d'administration de l'association

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

- Aucune aide extérieure

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

- Avec les relectures, environ 4 jours répartis sur 3 semaines

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

- Sur le fond, rien de notable
- Sur la forme, les cases à cocher qui ne sont pas interactives, les espaces de réponses qui ne sont pas clairement matérialisés

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

