

---

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

---

|                                                                                                                              |           |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| <b>Introduction</b>                                                                                                          | <b>3</b>  |
| <b>NOTE IMPORTANTE</b>                                                                                                       | <b>4</b>  |
| <b>Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.</b>                                               | <b>5</b>  |
| <b>Médicament sur lequel porte cette contribution</b>                                                                        | <b>7</b>  |
| <b>1. Questionnaire – Partie A</b>                                                                                           | <b>8</b>  |
| 1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie                                                                             | 8         |
| 1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients                                                                                | 8         |
| 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)                                               | 9         |
| 1.3. Le médicament évalué                                                                                                    | 9         |
| 1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire                                                            | 9         |
| 1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)                           | 10        |
| 1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement : | 10        |
| 1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement               | 10        |
| 1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?               | 10        |
| 1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation                                                        | 10        |
| 1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation                                                  | 10        |
| <b>2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)</b>                                                      | <b>11</b> |
| 2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce                                                | 11        |
| 2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé     | 12        |
| 2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir                                                         | 12        |
| 2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données                                          | 12        |
| <b>3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition</b>                                                                      | <b>13</b> |
| <b>4. Questionnaire – Partie D : Synthèse</b>                                                                                | <b>14</b> |
| <b>5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques</b>                                                                    | <b>15</b> |
| <b>6. Questionnaire – Partie F : Méthodes</b>                                                                                | <b>16</b> |

# 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](mailto: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](mailto: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

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 PUBLIE*

## Identité de l'association ou du groupe

**Nom complet (suivi du sigle si applicable) :** Association « Vivre sans Thyroïde » (VST)

**Site internet :** [www.forum-thyroïde.net](http://www.forum-thyroïde.net)

**Adresse postale (le cas échéant) :**

Vivre sans Thyroïde  
2 avenue d'Expert  
31490 Lègevin

**Nature de la structure :**

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☒ Association non agréée, créée en 2007, issue d'un forum de discussion pour patients en ligne depuis 2000. L'association est reconnue d'intérêt général depuis sa création en 2007. Statuts : <http://www.forum-thyroïde.net/association/Statuts-VST.pdf>

☐ Autre (préciser) :

☒ Affiliation à une fédération ou un réseau : réseau Firendo, Alliance Maladies Rares, réseau européen Endo-ERN, fédération internationale de la thyroïde TFI (Thyroid Federation International).

## Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

☒ Oui

☐ Non



*Vous devez remplir cette rubrique même si vous avez coché 'non' à la question ci-dessus. Votre décision sera respectée.*

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine de votre financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), sur les trois dernières années.

*Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.*

- Budget total de l'association pour l'année 2021 : 4.975 €
- Budget total de l'association pour l'année 2022 : 5.625 €
- Budget total de l'association pour l'année passée (2023) : 5.215€
- Budget total de l'association pour l'année en cours (2024) : *budget prévisionnel 15.000€ (nécessité d'une refonte totale du site, qui sera financée via un Crowdfunding de 10.000€)*

*Voir bilan annuel en ligne : <https://www.forum-thyroide.net/phpBB/budget.php?b=1>*

Tableau 1 : Sources de financement : *aucun*

| Année | Organisation | Montant (euros) | Pourcentage du budget pour l'année concernée |
|-------|--------------|-----------------|----------------------------------------------|
|       |              |                 |                                              |
|       |              |                 |                                              |
|       |              |                 |                                              |
|       |              |                 |                                              |
|       |              |                 |                                              |

# Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : **RETSEVMO**

Dénomination commune internationale (DCI) : *Selpercatinib*

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

- *Accès précoce / première demande pré-AMM : Nouvelle indication dans le traitement de 1ère ligne des patients adultes et des adolescents à partir de 12 ans atteints d'un cancer médullaire de la thyroïde avancé présentant une mutation du gène RET*
- *Remboursement / Extension d'indication : Traitement de 1ère ligne des patients adultes et des adolescents à partir de 12 ans atteints d'un cancer médullaire de la thyroïde (CMT) avancé présentant une mutation du gène RET (RET-positif).*

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

- ☒ 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. Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

*Le CMT est un cancer **réfractaire** (l'iode radioactif ne fonctionne pas), souvent déjà métastatique au moment du diagnostic, à l'évolution parfois rapide, pour lequel il n'existe pas de traitement curatif pour l'instant. Recevoir ce diagnostic, puis apprendre qu'il reste des métastases contre lesquelles il n'existe PAS de traitement curatif, est terriblement angoissant pour le patient et pour ses proches.*

*Il s'agit d'un **cancer rare** : d'après Orphanet, le cancer médullaire de la thyroïde (CMT) représente 5 à 10% des cancers de la thyroïde, avec une incidence de 1-2% dans les nodules thyroïdiens. La prévalence estimée dans la population générale est de 1/14,300.*

*Les CMT mutés pour RET représentent environ un tiers à la moitié des cas de CMT.*

*Quand les métastases ne peuvent pas être détruites par un traitement local (chirurgie, radio-fréquence, cryothérapie, radiothérapie externe...), la maladie progresse et les métastases s'étendent. Elles peuvent se développer dans de nombreux organes (foie, poumons, squelette, cerveau...), et provoquer des symptômes pénibles (gêne respiratoire ou à la déglutition, douleurs, fatigue), et écourter l'espérance de vie. Il est très angoissant pour le patient et pour ses proches de savoir que le cancer progresse, sans prendre aucun traitement pour tenter de le ralentir et/ou de faire régresser les métastases.*

*Les cellules du cancer médullaire produisent de la **calcitonine** – plus elle est élevée (chez une personne en bonne santé, elle se situe en-dessous de 10 – dans le cas d'un CMT métastatique, elle peut s'élever à 10.000, 18.000...), plus elle provoque de diarrhées, fréquentes (parfois > 10 selles quotidiennes, diurnes et nocturnes) et très invalidantes, empêchant toute vie sociale, provoquant une perte de poids, un affaiblissement général et de lourdes répercussions sur la qualité de vie et le moral du malade. Avec un traitement systémique comme le Retsevmo, ces diarrhées cessent généralement assez vite et permettent la reprise d'une vie sociale et familiale quasi normale..*

*Autres symptômes : Douleurs et fractures sur métastases osseuses*

*Compression des vaisseaux du cou et difficulté respiratoire si gros ganglions à la base du cou.*

*Douleurs au niveau des tumeurs sous-cutanées ou des ganglions. Difficultés respiratoires en cas de métastases pulmonaires. Ascite et nécessité de ponctions d'évacuation en cas de volumineuses métastases hépatiques.*

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients<sup>1</sup> qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ? Questionnaires SF-36, RAND-36, ThyPRO

<sup>1</sup> 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.

### 1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants

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

*Peur de la souffrance et de la mort du patient, angoisse devant le diagnostic « la maladie progresse et on ne peut rien faire ». Difficulté à mener une vie familiale et sociale « normale », d'avoir des activités à l'extérieur, notamment à cause de la fatigue et des diarrhées. Difficultés financières (le plus souvent, les patients doivent arrêter de travailler).*

## 1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)

**Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.**

*Pour le CMT métastatique avancé, progressif et symptomatique, il n'y a actuellement qu'un seul autre traitement systémique (inhibiteur de la tyrosinekinase) qui a déjà l'AMM, le Vandetanib (Caprelsa), aux effets indésirables parfois assez invalidants. Le Cabozantinib (Cabometyx) n'a pas encore d'AMM, et présente lui aussi des effets indésirables assez lourds. La toxicité de ces médicaments nécessite souvent des réductions de dose ou des pauses thérapeutiques – qui permettent au patient de « reprendre des forces », mais qui nuisent à l'efficacité du traitement.*

*Sinon, en fonction de la localisation des métastases, il n'y a que des traitements locaux (qui sont essentiellement palliatifs) : radiofréquence, cryothérapie, radiothérapie externe, cimentoplastie... ainsi que les soins supports.*

**Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?**

*Pour le Vandetanib : régression des métastases et stabilisation de la maladie, souvent pendant plusieurs années (mais pas chez tous les malades, et généralement à durée limitée).*

**Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?**

*Effets cutanés (hypersensibilisation aux rayons de soleil, syndrome mains-pieds, aphtes...), allongement de l'intervalle QT, hypertension, fatigue, essoufflement...*

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

*Le Vandetanib (et le Cabozantinib) ne fonctionnent pas chez tous les malades, ou arrêtent d'être efficaces après un certain temps, tout en provoquant des effets indésirables parfois assez invalidants. Il est important d'avoir le choix entre plusieurs molécules – d'autant plus que d'après les témoignages des patients qui ont reçu plusieurs traitements différents, les effets secondaires du Selpercatinib semblent généralement assez modérés, pour une efficacité souvent assez impressionnante.*

## 1.3. Le médicament évalué

### 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 ?**

*Oui, le libellé nous semble adéquat : traitement en première ligne des patients atteints d'un CMT avancé métastatique avec mutation RET. Il nous semble très important que les patients concernés puissent avoir accès à ce médicament (tout aussi efficace, voire plus, que le Vandetanib ou le Cabozantinib, tout en ayant moins d'effets secondaires) dès le départ, pour avoir le moins d'atteintes possibles à leur qualité de vie et de bonnes chances de ralentir, voire de stopper, au moins temporairement, l'évolution de leur maladie.*

### **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 ?**

*D'après les témoignages des patients (voir document joint), les effets secondaires restent généralement très limités et facilement supportables, et l'efficacité (réduction de la taille des métastases, diminution des marqueurs tumoraux) est souvent assez impressionnante.*

#### **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 ?**

*Aucun – l'efficacité du Selpercatinib semble tout aussi bonne, voire meilleure, tout en étant moins toxique.*

### **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**

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

*Amélioration de l'espérance de vie des patients métastatiques atteints d'un CMT avec mutation RET. Amélioration de leur qualité de vie. Dans certains cas, rendre « opérables » des patients non opérables, en faisant régresser leurs tumeurs.*

#### **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 ?**

*Crainte d'effets indésirables « retard » (p.ex. atteinte du foie ou des reins) – or l'expérience, à ce jour, semble plutôt rassurante.*

## 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 ».*

### 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 ?**

*Il s'agit d'un cancer réfractaire (l'iode radioactif ne fonctionne pas), progressif et métastatique, à l'évolution parfois rapide, pour lequel il n'existe encore aucun traitement « curatif » à l'heure actuelle.*

*Quand les métastases ne peuvent pas être détruites par un traitement local (chirurgie, radiofréquence, cryothérapie, radiothérapie externe...), la maladie progresse et les métastases s'étendent. Elles peuvent se développer dans de nombreux organes : foie, poumons, squelette, cerveau...), et provoquer des symptômes pénibles (gêne respiratoire ou à la déglutition, douleurs, fatigue), et écourter l'espérance de vie. Il est très angoissant pour le patient et pour ses proches de savoir que le cancer progresse, sans prendre aucun traitement pour tenter de le ralentir et/ou de faire régresser les métastases.*

*Les cellules du CMT produisent de la calcitonine – qui, quand elle est élevée, provoque des diarrhées fréquentes et très invalidantes, affaiblissant le patient et empêchant toute vie sociale.*

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

*Les traitements systémiques actuellement disponibles (Vandetanib et Cabozantinib) fonctionnent chez certains patients, mais au prix d'effets indésirables parfois assez lourds et handicapants (nécessitant souvent des réductions de dose ou des pauses thérapeutiques). Chez les patients qui ont bénéficié d'un « cross-over » lors de l'étude Libretto 531, ces effets indésirables ont le plus souvent disparu très rapidement après le passage au Selpercatinib (voir témoignages joints).*

**Quelles sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?**

*Le selpercatinib, d'après les essais cliniques déjà publiés, semble présenter une excellente efficacité dans les CMT à mutation RET, tout en provoquant beaucoup moins d'effets indésirables, permettant ainsi une importante amélioration de la qualité de vie des patients (voir témoignages joints).*

## 2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé

### 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 ?

*Suivi des symptômes et de l'état physique général (fatigue, douleurs, symptômes cutanés, tension, rythme cardiaque, poids, nombre/consistance des selles...)*

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. ?)

*Cahier de suivi, éventuellement application dédiée sur smartphone (avec rappel automatique) permettant d'entrer tous ses paramètres, avec connexion directe avec l'équipe soignante (alarme en cas de paramètres hors norme/critiques). Contact régulier avec une infirmière dédiée. Numéro à contacter à tout moment en cas de problèmes/questions urgentes.*

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

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 ?

Non

### 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 (sauf si c'est important pour faire avancer le dossier bien sûr !)

#### **Pour quelles raisons ?**

## 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 un cancer médullaire métastatique et progressif, outre la peur de la mort, sont les douleurs et les symptômes provoqués par les métastases, en fonction de leur importance et localisation, et également les diarrhées, fréquentes et invalidantes, provoquées par le taux élevé de calcitonine produite par les tumeurs, qui rendent la vie sociale quasi impossible.*

*Les thérapeutiques actuelles (vandetanib et cabozantinib) semblent moins efficaces et assez toxiques, avec des effets indésirables parfois très handicapants (problèmes de peau, syndrome main-pied, allongement de l'intervalle QT, hypersensibilité à la lumière...)*

*Le médicament étudié, le selpercatinib, répond aux besoins et attentes des patients parce qu'il agit assez rapidement, présente une bonne efficacité comparé aux thérapeutiques existantes, et provoque moins d'effets indésirables. Voir témoignages de patients joints :*

[https://www.forum-thyroide.net/pdf/HAS\\_RETSEVMO\\_2024\\_temoignages\\_patients.pdf](https://www.forum-thyroide.net/pdf/HAS_RETSEVMO_2024_temoignages_patients.pdf)

## **5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques**

## 6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

### Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

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

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

*Recueil de l'expérience de patients traités par le Selpercatinib, notamment dans le cadre de l'essai LIBRETTO. Echanges sur le forum, par mail, par courrier et téléphone. Les patients ayant profité de ce traitement étant encore peu nombreux (et pas très présents sur les réseaux sociaux), j'ai demandé aux médecins du réseau TuThyRef (tumeurs thyroïdiennes réfractaires, [www.tuthyref.com](http://www.tuthyref.com)), avec qui j'échange régulièrement au sein du comité de pilotage de ce réseau, où je représente les patients, de suggérer à leurs patients de me contacter, en leur expliquant à quel point leur expérience et leur témoignage sur leur vécu avec ce traitement serait important pour l'évaluer.*

*Les témoignages reçus étaient sous forme « texte », sans aucune mise en forme particulière – nous avons essayé de les transcrire le plus fidèlement possible.*

[https://www.forum-thyroide.net/pdf/HAS\\_RETSEVMO\\_2024\\_temoignages\\_patients.pdf](https://www.forum-thyroide.net/pdf/HAS_RETSEVMO_2024_temoignages_patients.pdf)

**Témoignages détaillés :**

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

*Les patients qui ont envoyé leurs témoignages.*

*Beate Bartès, présidente de l'association Vivre sans Thyroïde, pour la mise en forme des témoignages et la rédaction de la contribution.*

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

*Non*

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

*Environ 5 jours de travail*

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

*Difficulté à entrer en contact avec des patients concernés. Témoignages parfois peu précis, nécessité de relancer plusieurs fois.*

*Manque de bénévoles expérimentés dans l'association, manque de temps disponible.*

## 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](http://www.has-sante.fr)

---

