
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

Introduction 3

NOTE IMPORTANTE 4

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS. 5

Médicament sur lequel porte cette contribution 8

1. Questionnaire – Partie A 9

- 1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie 9
 - 1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients 9
 - 1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants 10
- 1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué) 10
- 1.3. Le médicament évalué 11
 - 1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire 12
 - 1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante) 12
 - 1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement : 12
 - 1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement 13
 - 1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ? 13
 - 1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation 13
 - 1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation 13
- 2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement) 14
 - 2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce 14
 - 2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé 15
 - 2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir 16
 - 2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données 16
- 3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition 18
- 4. Questionnaire – Partie D : Synthèse 19
- 5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques 20
- 6. Questionnaire – Partie F : Méthodes 21

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

La HAS dispose de toutes les données médico-scientifiques, mais ne peut pas par elle-même donner les arguments de réflexion du point de vue des patients ou usagers concernés.

C'est pourquoi vous êtes invité(e)s à contribuer aux évaluations.

La Commission d'évaluation économique et de santé publique rend un avis économique sur certains de ces médicaments. La présente contribution lui sera transmise systématiquement.

L'équipe du « service engagement des usagers » se tient toujours à votre disposition pour toute question ou échange. Contact : contact.contribution@has-sante.fr / 01 55 93 71 18.



Toutes les associations ou groupes représentant les usagers du système de santé peuvent utiliser ce questionnaire.

Vous pouvez consulter les informations publiées destinées aux associations et de patients et d'usagers sur la page internet dédiée du site internet de la HAS.

Lors des premières fois, il peut être utile de recevoir des explications : il y a toujours un interlocuteur dédié pour vous répondre, vous orienter ou échanger avec vous par mail (contact.contribution@has-sante.fr) ou par téléphone (01 55 93 71 18). C'est le service Engagement des usagers qui vous répondra : il s'agit d'une équipe qui est à votre écoute.

Pour des informations détaillées sur les principes d'évaluation des médicaments par la Commission de la transparence, vous pouvez consulter les doctrines d'évaluation [en vue du remboursement](#) et [en vue d'une autorisation d'accès précoce](#). Cette lecture spécialisée n'est pas nécessaire pour remplir ce questionnaire.

NB : pour simplifier la lecture, le masculin est utilisé dans les phrases de ce questionnaire – ceci est simplement une convention de rédaction dans le présent document. [La HAS promeut l'inclusion et l'égalité sur tous les plans, y compris de genre et de sexe.](#)

Note importante

Les questions de ce formulaire ne sont pas contraignantes. Elles ont pour but de vous orienter si vous les trouvez pertinentes.

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.

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Fédération Nationale des Malades drépanocytaires et Thalassémiques SOS GLOBI – FMDT SOS GLOBI

Site internet :

www.sosglobi.fr

Adresse postale (le cas échéant)

Laboratoire de Biochimie, Hôpital Henri Mondor, 51, avenue du Maréchal de Lattre de Tassigny
94000 Créteil.

Nature de la structure :

- ☐ Association agréée au niveau national
- ☐ Association agréée au niveau régional
- ☐ Association non agréée
- x ☐ Autre (préciser) : Fédération Nationale de 20 associations de patients.

Composition des associations non agréées et nature des groupes d'utilisateurs :

Association de personnes atteintes de Drépanocytose et de Thalassémie et de leurs aidants.

Nombre d'adhérents de l'association ou de participants au groupe :

Environ 600 adhérents.

Nombre de bénévoles :

10 bénévoles.

Nombre de salariés :

0

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

La Fédération des Malades Drépanocytaires et Thalassémiques SOS GLOBI rassemble les associations de soutien aux malades et familles touchés par ces deux maladies génétiques du globule rouge. Militante, elle plaide pour une meilleure prise en charge et reconnaissance de la drépanocytose et de la thalassémie.

Grâce à l'implication de ses membres, elle est présente sur l'ensemble du territoire afin de représenter les patients et leurs proches.

La FMDT a pour mission à l'échelle nationale :

- de représenter les malades au sein des groupes de travail nationaux.
- d'interpeller les autorités sur des points majeurs de santé publique.
- de défendre les droits des malades.
- d'être le porte-parole des malades auprès des autorités sanitaires.

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 N-3 : _____
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 71 715 € _____
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 65 911.05
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 50 777

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021	Consulting	6853	9,56%
	Sponsoring	28 500	39,74%
	Subvention/ Aide de l'État-Embauche	15 887	22,15%
	Mécénat	19,461	27,14%
	Dons fondation de recherche	14 495	20,21%
	Hello Asso	3 906	5,45%
	Course des héros	14 142	19,72%
2022			

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

CASGEVY

Dénomination commune internationale (DCI) :

exagamglogene autotemce a *CRISPR/Cas9*

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

Médicament en accès précoce pré-AMM dans le traitement de la drépanocytose sévère

CASGEVY est le premier médicament à utiliser la technologie CRISPR.

Casgevy agit en [modifiant le gène défectueux](#) dans les [cellules souches](#) de la [moelle osseuse](#) du patient. Celles-ci sont prélevées, génétiquement modifiées, puis réinjectées dans le patient. Jusqu'à présent, la [greffe](#) de [moelle osseuse](#) était la seule solution pour ces patients, malgré son risque de rejet. Durant les essais, Casgevy a démontré sa capacité à restaurer la production d'hémoglobine normale et saine.

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 drépanocytose, aussi appelée **anémie falciforme**, est une maladie génétique héréditaire touchant les globules rouges (ou hématies). Elle est caractérisée par une **anomalie de l'hémoglobine**, principale protéine du globule rouge.

L'hémoglobine transporte l'oxygène depuis les poumons vers les tissus et participe à l'élimination du dioxyde de carbone.

Elle engendre une :

Anémie chronique qui est causée par les polymères d'hémoglobine S qui fragilisent les globules rouges et favorisent leur destruction précoce (hémolyse). Alors que la durée de vie moyenne des hématies est normalement de 120 jours, elle tombe à une vingtaine de jours seulement chez les personnes atteintes de drépanocytose.

L'anémie est susceptible de s'aggraver brutalement en cas de suractivité de la rate dans la destruction des globules rouges anormaux. On parle alors de **séquestration splénique aiguë**.

Par ailleurs, l'infection par le parvovirus B19 peut provoquer un arrêt transitoire de la production des globules rouges, normalement bien toléré, mais qui peut aggraver l'anémie de façon importante en cas de drépanocytose. On parle alors de **crises aplasiques**.

Les crises dites « vaso-occlusives » sont déclenchées par les globules rouges rigidifiés par les polymères d'hémoglobine S, qui finissent par obstruer la circulation sanguine dans les petits vaisseaux sanguins. Ces crises entraînent des **douleurs aiguës** souvent extrêmement violentes. Elles affectent particulièrement les os, les articulations des bras et des jambes, le dos ou la poitrine.

Chez les toutpetits, la crise se manifeste généralement par un gonflement douloureux des mains et des pieds (**syndrome pied-main**).

Le **syndrome thoracique aigu** constitue une complication fréquente dans les jours suivant l'installation d'une crise vaso-occlusive. Il correspond même à la première cause de décès des patients atteints de drépanocytose.

Les **accidents vasculaires cérébraux (AVC)** sont également communs chez les drépanocytaires, surtout chez les enfants. Ces AVC se manifestent de façon très variable (paralysie, maux de tête, aphasie, trouble de l'équilibre...) et sont généralement transitoires. Dans certains cas, ils laissent toutefois de graves séquelles intellectuelles et/ou motrices.

la répétition des vaso-occlusions peut aboutir à la **nécrose** de certains tissus comme l'os (ostéonécrose de la tête fémorale) ou d'organes. Par ailleurs très sollicitée pour assurer l'hémolyse des hématies falciformes, la rate des patients drépanocytaires fait ainsi partie des organes précocement lésée par les vaso-occlusions. Elle n'assure alors plus complètement son rôle, ce qui peut favoriser la survenue d'infections bactériennes. (source INSERM)

La maladie a différents impacts au quotidien :

Impact fonctionnel : incapacité à la station debout prolongée, à pratiquer une activité physique intense, à soulever des charges lourdes, à rester dans un endroit mal ou trop aéré, sec, froid ou trop chaud. Fatigue chronique et difficultés de concentration dues aux traitements.

Impact social / relationnel : Difficultés à avoir une vie sociale soumise aux Crises de douleurs imprévisibles (sorties activités sportifs limitées, activités de plein air limités, (ski), vacances à la montagne à proscrire.

La maladie engendre un handicap invisible. Ce handicap a une répercussion sur sa vie quotidienne. La personne malade/handicapée a une double peine ; en effet son handicap n'est jamais stabilisé, et sa vie peut basculer d'un instant à l'autre (vais-je pouvoir me lever ce matin ?)

Ce handicap a du mal à être compris par les personnes extérieures, en revanche, il est un grand obstacle pour obtenir un prêt immobilier ; c'est le parcours du combattant pour le malade qui verra de toutes les façons sa demande déboutée par la convention AREAS.

Equilibre familial/ relation intimes : Difficultés à trouver un(e) partenaire au vu de la méconnaissance de la maladie et de sa lourdeur au quotidien.

Priapisme (symptôme masculin), pour certains, difficultés pour l'acte sexuel. Grossesses à risques, et surveillance accrue de la grossesse.

Impact psychologique : perte de confiance, isolement, repli sur soi.

Découragement, (le malade passe le plus clair de son temps à se justifier :

- Difficultés de prise en charge aux urgences, où il est parfois étiqueté comme venant chercher sa dose.)
- Difficultés à faire reconnaître son handicap par la MDPH
- Difficultés à justifier que sa santé peut basculer d'un instant à l'autre (caractère imprévisible de la maladie et de la survenue des CVO)
- Difficultés à faire comprendre sa douleur (l'échelle de douleur lambda ne correspond pas aux douleurs de la drépanocytose ; les patients décrivent leur douleur comme des os broyés, serrés dans un étau, frappés avec un marteau, ou un courant éclectique qui passe dans tout le corps une crampe interminable... Le patient parfois en crise est renvoyé chez lui, (au péril de sa vie) car le soignant ne comprend pas sa demande.
- Stigmatisation de maladie. (Syndrome méditerranéen)

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

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

1- Etude shape : (Sickle cell Health Awareness, Perspectives and Experience) :

<https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S0248866322008402>

2 - Enquête Drépatient : <https://sosglobi.fr/actualites/enquete-drepatient/>

3 – Étude focus patients :

<https://filiere-mcgre.fr/wp-content/uploads/2022/10/9.-M.-Lepetit-Journee-associations-patients-15-oct.-2022.pdf>

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

1



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)

– Fatigue physique – Fatigue intellectuelle	*Asthénie- anémie hémolytique chronique- douleurs- épuisement. *Manque de confiance en soi- doute- peur de la CVO- dépression.
– Activité de vie quotidienne / sociale	- Activité réduite-essoufflement à l'activité/ grande fatigabilité. * plus de temps pour récupérer *susceptibilité extrême à l'infection.
– Vie professionnelle / capacité de travail / aspects financiers. – – – – – – Vie affective – Vie sexuelle	– Handicap due à une hémoglobine basse,(voire très basse). *Difficulté de reconnaissance de l'handicap invisible. *Perte de l'emploi, difficultés d'insertion professionnelle dues à la complexité de la maladie. Perte ou baisse du salaire (absentéismes pour CVO ou hospitalisations) – Difficulté à trouver un conjoint/peur du rejet. CVO qui peuvent survenir après l'acte sexuel. - Priapisme pour les hommes. - Difficultés à procréer liées aux traitements. Grossesses à risque.
– Mobilité / déplacement	– Pause de prothèses – ostéonécrose - Ulcères.

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

Témoignage d'un aidant : *lorsque je vois ma conjointe dans l'incapacité de monter des escaliers car elle est trop essoufflée (et parfois même elle a des vertiges), qu'elle ne peut pas marcher plus de 1 kms (si nous devons visiter quelque chose son capital est déjà épuisé), qu'elle doit se protéger du froid constamment, qu'elle doit dormir 12 heures/jour et que chaque activité va la bloquer dans sa récupération ; pour comprendre qu'un aidant doit s'adapter en permanence à l'évolution d'une maladie qui procure des frustrations et angoisses dont on garde la pudeur dignement...)*

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...).

Population répondante (570)	Soins engagés pour une année
Sexe : féminin à 68,9%	Hospitalisation pour CVO/STA : 48,8%
Age : moins de 35 ans : 59,4%	Séjours en réanimation : 20,3%
Région de naissance : Europe : 58,3%	Chirurgie, prothèse ou greffe : 38,6%
Enfant atteint de drépanocytose : 17,6%	Transfusion sanguine : 35,6%
Situation Financière stable : 38,6%	Suivi psychologique : 32,5%
	Traitements de fond :
	Siklos : 60,1%
	Antalgiques : 63,3%
	Oxygénothérapie : 22,5%
	Acide folique : 22,5%

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

Traitements actuels (palliatifs)	Avantages	inconvénients

Hydroxyurée	Médicament chimiothérapeutique administré par voie orale, améliore certains des problèmes cliniques de la drépanocytose, en particulier la douleur, en augmentant l'hémoglobine fœtale. L'hémoglobine fœtale (HbF) empêche la formation des polymères dans l'hémoglobine falciforme du globule rouge.	- Pour les patients désirant des enfants, il est important de noter que ce médicament peut entraîner une diminution voire une disparition des spermatozoïdes dans le sperme. - Diminution du nombre de cellules dans le sang pouvant entraîner des infections, des saignements. - Nausées, vomissements, diarrhées, constipation, perte d'appétit (anorexie), inflammation du pancréas, lésions dans la bouche (stomatite; aphte) ; inflammation des muqueuses (mucosite) ; gêne abdominale. - Eruption cutanée, rougeurs, taches pigmentées, sécheresse cutanée, anomalies de la peau et des ongles. - Augmentation de l'acide urique, de l'urée et de la créatinine dans le sang.
Les antibiotiques	Les drépanocytaires ont un système immunitaire plus faible qui ne leur permet pas de lutter convenablement contre les infections les plus banales. Le traitement par antibiotique est quotidien et permet de prévenir les infections	- Troubles digestifs (nausées/vomissements/ ballonnement/diarrhées.
Acide folique / vitamin B9	L'acide folique ou vitamine b9 joue un rôle essentiel dans le renouvellement cellulaire et notamment des globules rouges.	- Troubles digestifs (nausées/vomissements/ ballonnement. - Risques allergiques

Les transfusions sanguines ou échanges transfusionnels	Les transfusions sanguines peuvent être réalisées de manière ponctuelle lors de la survenue de complications de la drépanocytose (anémie, crise...). Elles consistent à administrer le sang d'un donneur compatible à un malade. Les échanges transfusionnels consistent à retirer une part importante du sang d'un malade drépanocytaire et à lui administrer le sang d'un donneur. Le patient n'a ainsi plus qu'une petite quantité de cellules « malades » dans son corps. Ce traitement peut être réalisé de manière ponctuelle lors de la survenue de certaines complications, ou chronique afin de prévenir certaines complications, notamment les AVC.	Les transfusions répétées peuvent entraîner un certains nombres de complications comme la surcharge en fer (hémochromatose) ou des complications d'ordre immunitaires. Des Douleurs/gêne aux points d'injection.
Le Crizanlizumab /adakvéo	Le crizanlizumab est une molécule (anticorps monoclonal) qui empêche la production d'un élément facilitant l'adhésion des globules rouges aux globules blancs et aux plaquettes appelée P-selectine et diminue ainsi la formation de bouchons entraînant les crises douloureuses. Il est initié par le spécialiste de la drépanocytose, avec une perfusion toute les 2 semaines pendant un mois et ensuite tous les mois.	Douleurs points d'injection. Prurit – fièvre Nausées, vomissements, douleurs abdominales, diarrhée. Douleurs musculo-squelettique. Douleurs articulaires. Ce traitement n'est actuellement proposé qu'en prescription hospitalière.
Voxelotor /oxbryta	inhibiteur de la polymérisation de l'hémoglobine S (HbS) qui se lie à l'HbS avec une stœchiométrie de 1/1 et présente une partition préférentielle en globules rouges (GR).En augmentant l'affinité de l'Hb pour l'oxygène, le voxelotor montre une inhibition dose-dépendante de la polymérisation de l'HbS. Les études non cliniques suggèrent que le voxelotor peut inhiber la falciformation des GR, améliorer la déformabilité des GR et réduire la viscosité du sang total.	Traitement disponible en accès précoce. Troubles digestifs (nausées/vomissements/ ballonnement/diarrhées.
Antalgiques	Médicaments qui atténuent ou supprime la douleur	Troubles digestifs. Dépendance.

Oxygénothérapie		
Traitements curatifs : La greffe de moelle osseuse	Avantages C'est actuellement le seul traitement potentiellement curateur : il s'agit d'une greffe allogénique géno-identique (greffe intrafamiliale HLA-identique). La procédure consiste à détruire la moelle osseuse du patient drépanocytaire qui va recevoir la greffe. Cette destruction est réalisée par un traitement de chimiothérapie. Une séance de radiothérapie peut être prévue. Suite à ce « conditionnement ».	Inconvénients La greffe de moelle osseuse peut comporter des risques, liés à la chimiothérapie mais aussi à la réaction immunitaire du patient ou même des cellules greffées qui peuvent attaquer les organes du patients greffes. Le donneur doit être parfaitement compatible, cela réduit les patients qui pourraient prétendre à cette greffe. Le patient doit rester dans un environnement stérile car il est extrêmement vulnérable aux infections, puisqu'il ne possède plus de défenses immunitaires. Risque de réaction du greffon contre l'hôte (GVH) Des traitements immunosuppresseurs avec des conséquences importantes que sont, entre autres, la fragilité temporaire aux infections, une toxicité responsable à court terme de complications neurologiques, et à plus long terme de stérilité. Il peut également exister un risque de non prise de greffe ou de rejet avec retour à l'état antérieur.

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

Pour la plupart des patients, la prise en charge de la drépanocytose s'articule autour d'une prévention des complications et d'un suivi médical régulier. Il n'existe à ce jour **aucun traitement curatif** sauf la greffe de moelle osseuse.

De part la lourdeur des greffes de moelle osseuse et la difficulté à trouver des donneurs compatibles, les perspectives de guérison de la drépanocytose reposent plus volontiers sur la thérapie génique. Cette approche vise à « greffer » un gène sain de la bêta-globine dans les cellules souches hématopoïétiques des malades drépanocytaires. Des essais encourageants ont été réalisés sur des modèles animaux de la maladie. [Des essais cliniques ont été conduits en France](#) (Philippe Leboulch,

Yves Beuzard et Marina Cavazzana, unité Inserm 1163) comme à l'étranger, avec des résultats encourageants. Une cinquantaine de patients dans le monde est aujourd'hui incluse dans des protocoles de ce type. (source INSERM)

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 :

Le traitement évalué promet de rétablir les difficultés listées ci-après, rencontrées par les malades.

Il permettrait la guérison totale de la maladie. Les cellules souches sont extraites de la moelle osseuse des patients et l'ADN de ces cellules est traité et réparé par CRISPR-Cas9 pour corriger les anomalies génétiques.

Une fois modifiées, elles sont réintroduites dans l'organisme du patient et sont alors capables de remplir leur rôle : produire de l'hémoglobine. Ce nouveau traitement constitue une avancée importante pour les patients car il agit sur les causes génétiques de ces deux maladies (la drépanocytose et la Thalassémie)

État de santé / durée de vie

Destruction anormalement rapide des globules rouges (dont la durée de vie est ainsi très diminuée), entraînant un manque de globules rouges ou une anémie (taux anormalement bas d'hémoglobine). Une obstruction des petits vaisseaux sanguins. AVC/ STA/CVO

L'espérance de vie d'une personne atteinte de la drépanocytose aujourd'hui est de **45 ans**.

Qualité de vie/vie sexuelle/ Vie scolaire

Les transfusions nécessitent une hospitalisation de jour et un suivi régulier. Quant à la prise quotidienne d'antibiotiques et le respect des rappels de vaccins (surtout chez les jeunes enfants), cela nécessite une certaine discipline de la part des malades et de leur famille, et ce, sur une longue période.

Absentéismes répétés, Difficultés à poursuivre des études, et à obtenir un travail adapté.

Les patients ont souvent un retard de croissance et une puberté plus tardive.

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

Le nouveau traitement, Casgevy, est le premier à utiliser une technologie nommée CRISPR-Cas9 ou "ciseaux moléculaires", qui consiste à modifier l'ADN de n'importe quelle cellule pour le réparer. Casgevy, fruit d'une collaboration entre Vertex Pharmaceuticals et CRISPR Therapeutics, incarne une avancée majeure dans l'application pratique de la technologie CRISPR. Cette méthode révolutionnaire, permet une modification ciblée et précise de l'[ADN](#). Elle ouvre ainsi la voie à des traitements personnalisés pour des maladies génétiques complexes.

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.

Casgevy a été spécifiquement approuvé pour les patients âgés de 12 ans et plus qui sont confrontés à la drépanocytose accompagnée de crises douloureuses fréquentes, ou à la bêta-thalassémie, une condition qui nécessite des transfusions sanguines régulières. Ces deux maladies, liées à des anomalies de l'hémoglobine, ont un impact profond sur la qualité de vie des patients.

Ce traitement permet d'inclure plus de patients vers la guérison (rappelons que la greffe de moelle osseuse ne concerne que les malades de moins de 35 ans)

Le processus thérapeutique de Casgevy est particulièrement innovant : il est basé sur les [cellules souches](#) propres au patient, qui sont extraites puis modifiées en laboratoire grâce à la technologie CRISPR. Cette modification vise à corriger les anomalies génétiques responsables de la maladie. Une fois réintroduites dans l'organisme du patient, ces cellules souches modifiées sont capables de produire une forme fonctionnelle d'hémoglobine, essentielle au transport de l'oxygène dans le sang.



*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 :

Cette approche représente un changement de paradigme dans le traitement de la drépanocytose et de la bêta-thalassémie, et des maladies génétiques de façon plus large. **Elle ne se contente pas de traiter les symptômes de ces maladies, mais s'attaque directement à leur cause génétique.**

Cela pourrait non seulement améliorer de manière significative la qualité de vie des patients, mais aussi réduire la dépendance aux traitements symptomatiques, comme les transfusions sanguines fréquentes.

Les malades fondent un très grand espoir d'une amélioration de leur qualité de vie grâce à ce médicament.

Les essais cliniques de Casgevy ont révélé des résultats prometteurs. Dans le cas de la drépanocytose, il a démontré sa capacité à réduire, voire éliminer, ces épisodes douloureux. 28 des 29 patients n'ont ressenti aucun épisode de douleur majeure pouvant conduire à une hospitalisation, pendant au moins un an après le traitement. Cette amélioration significative de la qualité de vie des patients est un progrès notable, étant donné la nature chronique et souvent invalidante de ces crises. (Étude approuvée par l'agence de régulation des médicaments et des produits de santé au Royaume-Uni)



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 ?

Attente d'une diminution de la lourdeur de la prise en charge des malades :

- Diminution des transfusions
- Diminution des attaques chroniques liées à la maladie.
- Diminution des hospitalisations.
- Augmentation de la qualité de vie
- Voire guérison totale.

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 ?

Avant l'administration du médicament, les patients doivent subir une chimiothérapie de « préconditionnement ». Cette étape est cruciale pour préparer la moelle osseuse à recevoir les cellules souches modifiées. Bien que nécessaire, cette chimiothérapie peut entraîner divers effets secondaires, tels que des douleurs, des nausées et un risque accru d'infections, en raison de la suppression temporaire du système immunitaire.

Les patients traités avec Casgevy peuvent nécessiter une hospitalisation prolongée, souvent d'au moins un mois, pour une surveillance de sécurité post-traitement. Cette période d'hospitalisation est essentielle pour s'assurer que les cellules souches modifiées s'intègrent correctement et commencent à produire l'hémoglobine fonctionnelle nécessaire.

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 ?

La drépanocytose est une maladie chronique, dont l'handicap croît avec l'âge, consommatrice de temps médical dans sa prise en charge régulière. C'est une maladie de l'extrême urgence, au vu de la rapidité avec laquelle certains processus septiques ou vaso-occlusifs peuvent déboucher sur des situations de défaillance multi-viscérale gravissime (artériopathie dont AVC, infarctus tissulaires ayant leur génie évolutif propre tels que ostéonécroses, ulcères des jambes, atteintes rénales, hépatiques ou cardio-respiratoires...).

En France, elle concerne environ 400 nouveaux enfants par an. Elle se manifeste généralement par une anémie permanente entraînant une grande fatigabilité, des crises très douloureuses liées à l'obstruction des vaisseaux provoquée par la rigidité des globules rouges, et par des infections répétées. L'enfance et l'adolescence sont les périodes où les manifestations de la maladie sont souvent les plus importantes. Elles impactent donc la scolarisation (et plus tard l'insertion dans le monde du travail.).

Les aspects invisibles, comme la fatigabilité liée à l'anémie, aux douleurs très importantes lors des crises et aux soins (dont les transfusions), les effets secondaires des traitements ainsi que l'anxiété majeure caractéristique, peuvent impacter la participation à la vie scolaire mais aussi significativement les apprentissages.

L'espérance de vie des patients est réduite de 20 à 30 ans par rapport à la population générale. A la différence d'autres pathologies, la drépanocytose a peu de manifestations extérieures en dehors de son retentissement sur la vie quotidienne, ce qui ne la rend pas moins lourdement

handicapante. En plus des conséquences médicales, les complications chroniques génèrent un stress important qui empêche les patients de se projeter dans leur vie professionnelle et personnelle.

L'Inserm estime que 466 enfants atteints de drépanocytose ont vu le jour en 2015, soit une prévalence d'un enfant pour 1 736 naissances.

Depuis les années 2000, cette prévalence augmente de 5 à 7% en moyenne par an sur l'ensemble du territoire.

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

Malgré les progrès réalisés dans la prise en charge de la drépanocytose durant les dernières décennies, les formes génétiques homozygotes SS et S β^0 restent associées à des complications sévères et récurrentes, et à une mortalité précoce chez l'adulte. Chez l'enfant, la probabilité d'hospitalisation pour crise vaso-occlusive (CVO) douloureuse est estimée à 71 %, pour syndrome thoracique aigu (STA) à 40 % et pour première transfusion à 65 % à 5 ans. La probabilité de développer des vitesses cérébrales pathologiques (supérieures ou égales à 2 m/sec), conférant un risque de survenue d'infarctus artériel cérébral (IAC) est de 10 % à 5 ans.

Chez l'adulte comme chez l'enfant, le traitement de fond peut être médicamenteux par l'hydroxycarbamide (HC) ou peut consister en un programme transfusionnel (PT) régulier ; il est recommandé après la survenue des complications.

Dans une étude pédiatrique nationale française, à 5 ans, le recours au PT et à l'HC était estimé, respectivement à 18 % et 14 % des enfants SS et S β^0 , avec une variabilité selon les centres. Dans la cohorte néonatale de Créteil, où le recours à l'intensification thérapeutique était plus élevé (à 5 ans, probabilité de recours au PT de 41 % et à l'HC de 27 %), le poids de la maladie au cours de l'enfance restait élevé : sur 3 400 patients-années (PA) d'observation, l'incidence des CVO est de 64/100 PA, celle des STA de 7/100 PA, et l'incidence des épisodes transfusionnels de 299/100 PA (résultats non publiés). Des essais thérapeutiques ayant montré l'efficacité et la bonne tolérance de l'HC en prévention des complications chez le nourrisson, dans un contexte de morbidité persistante considérable pendant l'enfance et chez l'adulte, l'introduction plus précoce de l'HC dès la survenue des premières complications est actuellement recommandée, et peut être proposée **en préventif**.

Le traitement par hydroxycarbamide efficace mais non curatif

L'HC, dénommée aussi hydroxyurée (Hydrea, Siklos), a été pendant vingt-cinq ans le seul traitement médicamenteux de fond de la drépanocytose. Il reste le traitement non curatif le plus efficace, le plus prescrit, avec de nombreux bénéfices, y compris l'amélioration de l'espérance de vie.

L'HC est un inhibiteur de la ribonucléotide réductase auparavant prescrit comme cytoréducteur dans les syndromes myéloprolifératifs. Son principal mode d'action repose sur l'augmentation de la synthèse de l'hémoglobine fœtale (HbF). Ces molécules d'HbF réduisent la polymérisation des molécules d'HbS et, ainsi, réduisent la cascade d'événements physiopathologiques délétères qui en résultent : falciformation, rigidité des globules rouges, hémolyse.

L'HC a d'autres effets bénéfiques : diminution de la leucocytose, de l'adhésivité des globules rouges, augmentation de la disponibilité du monoxyde d'azote.⁴

La seule option curative existante consiste en une greffe de cellules souches issues de la moelle osseuse ou du sang du cordon ombilical. Cette opération est réservée aux cas les plus sévères de la maladie et seuls **18% des patients ont un donneur compatible dans leur entourage**. Elle reste peu proposée aux adultes atteints d'une forme grave en raison des effets secondaires potentiellement importants de la procédure, et des défaillances des organes survenus avec les traitements, et l'évolution de la maladie.

De plus les receveurs ayant une greffe de cellules souches de ce type doivent prendre des immunosuppresseurs toute leur vie.

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).*

Ce traitement est conçu à partir du système d'édition du génome crispr. Cette technologie permet d'apporter des changements aux séquences génétique directement dans les cellules.

L'EMA a fondé sa recommandation sur deux essais en cours chez des patients âgés de 12 à 35 ans. Dans le premier, 42 patients atteints de thalassémie bêta dépendante de transfusion, dont 13 adolescents, ont été traités **par une seule dose de Casgevy**. Parmi eux, 39 étaient libérés des transfusions pendant au moins un an. Dans le second essai, 29 patients, y compris six adolescents souffrant de drépanocytose sévère, ont été suivis. Sur ces 29, 28 n'ont pas eu de crises vaso-occlusives pendant au moins 12 mois consécutifs. Les crises vaso-occlusives, caractérisées par des douleurs sévères et des dommages aux organes, sont la principale cause de visites aux urgences et d'hospitalisations chez les patients atteints de drépanocytose.

Les essais cliniques ont démontré l'efficacité et la sécurité de Casgevy. L'étude a inclus des patients atteints de bêta-thalassémie et de drépanocytose, avec des résultats encourageants tels que la libération des transfusions et la diminution des crises vaso-occlusives. Bien que des effets

secondaires aient été observés, tels que la baisse de la numération leucocytaire et des plaquettes, ils sont principalement attribués aux médicaments nécessaires pour que les cellules sanguines modifiées s'implantent.

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.



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 ?

- Groupe de travail avec l'association et en collaboration avec la filière de santé MCGRE.
- Groupe d'échanges réseaux sociaux et WhatsApp
- Questionnaire de recueil d'informations

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. ?)

Il faudrait former des groupes de travail de recueil d'informations :

Auprès des patients experts, dans les ateliers d'ETP.

Auprès de groupes d'échanges (groupe WhatsApp)

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



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

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



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

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

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

☒ x 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'usagers 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 ?

X ☐ Oui

☐ Non

Pour quelles raisons ?

La drépanocytose est une maladie avec des signes complexes qui varient d'un malade à un autre. Cette évaluation est très importante pour l'avenir des malades qui portent quotidiennement une épée de Damoclès sur leurs épaules.

Les malades sont à l'affût de savoir comment se passera leur journée (vais-je avoir une crise ? Comment pourrais-je éviter la douleur ? etc...)

Il est important de bien comprendre tout l'impact ou répercussions de la maladie sur le quotidien des malades, et toute la lourdeur pour leurs proches aidants.

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que ...
- Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont :

- Les symptômes variables et souvent imprévisibles :

Complications aiguës	Complications chroniques
Crise-vaso-occlusive	Anémie chronique hémolytique
Syndrome Thoracique aigue	Hypertension artérielle pulmonaire
Accident vasculaire cérébrale	Vasculopathies cérébrales
Complications infectieuses	Insuffisance cardiaque
Ostéonécrose Fémorale	Insuffisance rénale
Priapisme	Rétinopathie
Complications auditives ou visuelles	Ulcères cutanées.
Sequestration splénique	

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.

Toutes les associations s'accordent sur le fait que la drépanocytose devrait à ce jour être déclarée comme « grande cause nationale ».

Avec la généralisation du dépistage néonatal, nous avons fait un grand pas.

Nous savons que son incidence augmente régulièrement depuis 2010 pour atteindre 1 nouveau-né sur 1323 en 2020.

Le 19 juin, les associations **Drepacare, Sicklelink, Evad, Drepa31, Drepanodoubout, Drepaguyane, Association soins et précarité, Dorys, Drépavie, Ged, Evd, EspoirHopeElikia, Sos globi et l'Apipd** ont remis à la Ministre déléguée chargée de l'Organisation territoriale et des Professions de Santé, Agnès Firmin Le Bodo un livre blanc « mettre un terme à la rupture d'égalité »

https://drepacare.com/wp-content/uploads/2023/06/Drepanocytose_Livre-blanc_Mettre-un-terme-a-la-rupture-degalite-1.pdf

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 ?

Documentation faite auprès de différentes études et questionnaires dédiés aux malades :

Etude shape : « impacts de la drépanocytose sur la qualité de vie des patients »

Etude Drépatient : « Première enquête nationale évaluant les répercussions de la drépanocytose sur la qualité de vie, la scolarité et l'insertion socio-professionnelle des patients adultes et des parents d'enfants malades résidant sur le territoire français.

Etude Focus Patients : « Générer de nouvelles connaissances sur la drépanocytose par l'analyse des témoignages sur les forums publics de l'internet en France »

Sites internet : www.sosglobi-has.inserm.fr Filière MCGRE- fiches Orphanet.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Madame Soobraty Stacy : Vice Présidente de la Fédération des Malades Drépanocytaires et Thalassémiques.

Mr Godart Christian : Président d'honneur de la FMDT SOS GLOBI

Madame Lepetit Maryannick : Présidente de l'association SOS GLOBI Nouvelle-Aquitaine.

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 ?

Entre 10 et 20h

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

NON

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](#).

