
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	12
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	13
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	13
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	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	14
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	15
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	15
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	16
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	17
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	17
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	19
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	20
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	21
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	22

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) :

Association Retina France « vaincre les maladies de la vue »

Site internet :

www.retina.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

2 chemin du cabirol, 31770 Colomiers.

Nature de la structure :

☒ Association agréée au niveau national

☐ ~~Association agréée au niveau régional~~

☐ ~~Association non agréée~~

☒ Autre (préciser) : reconnue d'utilité publique

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

Retina France est membre de Retina International

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Eylea 8mg

Dénomination commune internationale (DCI) :

Aflibercept 8mg

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

Traitement de la forme néovasculaire (humide) de la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA)

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* **1**
- *Activités de la vie quotidienne* **5**
- *Mobilité/déplacement* **4**
- *Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail* **2**
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale* **3**
- *Impacts psychologiques*
- *Douleur*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

Toutes formes confondues, cette maladie concerne 8 % de la population française¹. Elle touche 1 % des personnes de 50 à 55 ans, environ 10 % des 65 à 75 ans et de 25 à 30 % des plus de 75 ans. Compte tenu de l'allongement de l'espérance de vie, l'incidence de la DMLA devrait continuer à croître².

Les conséquences délétères de la DMLA sur la qualité de vie sont souvent sous-estimées par le public comme par les professionnels de santé. En effet, les patients qui ont une DMLA estiment que leur qualité de vie a baissé dans une proportion de 96% à 750% plus importante que la perception qu'en ont les ophtalmologistes traitants³.

¹ INSERM. *Épidémiologie de la DMLA*. [online] Juin 14, 2017. <https://www.inserm.fr/information-en-sante/dossiers-information/degenescence-maculaire-liee-age-dmla>

² J. Uzzan, M. Haddad, N. Salamé,

Enquête de qualité de vie auprès de 3738 patients traités par injections intravitréennes pour leur dégénérescence maculaire liée à l'âge, *Journal Français d'Ophtalmologie*, Volume 47, Issue 3, 2024, 104075, <https://doi.org/10.1016/j.jfo.2024.104075>.

³ IBID.

Une DMLA légère entraîne une baisse de 17% de la qualité de vie chez le patient moyen. Une DMLA modérée fait baisser de 40% la qualité de vie, soit l'équivalent de la dialyse rénale permanente. Une DMLA très sévère entraîne une baisse de 63% de la qualité de vie, semblable à certaines formes de cancers ou d'AVC qui nécessitent des soins constants⁴.

La DMLA présente également un fardeau psychologique : la peur de la cécité et la dépendance sont particulièrement mis en avant⁵. Les patients craignent tous de perdre leur autonomie. Ceci est une angoisse partagée par la plupart de nos membres. Nous devons donc insister et expliquer que le maintien de l'autonomie de vie quotidienne est possible avec une bonne rééducation visuelle liée à des traitements disponibles et accessibles à toutes les bourses.

La diminution des capacités visuelles se traduit également souvent par des accidents et des blessures qui représentent des dépenses importantes pour la collectivité.

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

X Non

☐ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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* 1
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement* 3
- *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille* 2
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*

⁴ Melissa M. Brown, Gary C. Brown, Joshua D. Stein, Zachary Roth, Joseph Campanella, George R. Beauchamp, Age-related macular degeneration: economic burden and value-based medicine analysis, Canadian Journal of Ophthalmology, Volume 40, Issue 3, 2005, Pages 277-287, [https://doi.org/10.1016/S0008-4182\(05\)80070-5](https://doi.org/10.1016/S0008-4182(05)80070-5).

⁵ Psychologie du patient DMLA Mayer Srou Les Cahiers d'Ophtalmologie 2016; n°205:49-50

- Vie sexuelle
- Vie sociale 5
- Impacts psychologiques 4
- Aspects financiers
- Autres aspects

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

Dans un premier temps, il est difficile d'expliquer à ses proches que l'on ne voit que partiellement car le grand public comprend la malvoyance comme étant la différence entre bien voir et être aveugle. Il y a donc souvent une première étape d'incompréhension des proches face à la maladie.

Dans un second temps, ils veulent et souhaitent nous aider mais n'ont pas les réflexes et les gestes qui conviennent. Par exemple : ils ouvrent une porte devant nous de manière incomplète (pas à 90°) au risque d'en heurter la tranche.

Viennent ensuite un aggravement du fardeau des tâches quotidiennes ou de la responsabilité de la mobilité et de la locomotion pour le proche ou l'aidant : exemple, la conduite devient impossible ou très dangereuse. Il en va de même pour la cuisine ou d'autres activités quotidiennes.

Les problématiques sont encore plus importantes pour ceux d'entre nous qui vivent en milieu rural (absence de transports publics, renforcement de la dépendance aux proches, isolement).

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.

La population française vivant avec une DMLA exsudative s'élevait à 276 187 personnes sur près de 26 millions de Français âgés de plus de 50 ans (2018). Dans la plupart des cas, ces patients reçoivent des injections intra-vitréennes (IVT) répétées d'anti-VEGF⁶ (Avastin, Lucentis ou Eylea 2mg, par exemple). Si ces traitements stabilisent la maladie, ils ne la guérissent pas pour autant et des contrôles ophtalmologiques rapprochés (souvent tous les mois) sont nécessaires.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Cette voie d'administration bénéficie d'une bonne tolérance avec une faible incidence des effets secondaires et une rare survenue de complications. La survenue d'endophtalmie, complication la plus sérieuse, reste très faible. En France, selon une étude récente, elle est estimée à 0,024 % sur plus de 5 millions d'IVT administrées entre 2009 et 2018⁷

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Chaque injection nécessite un protocole d'anesthésie topique et d'instillation répétée de povidone iodée qui altèrent la surface oculaire, peuvent être cytotoxiques au long cours⁸, entraîner un inconfort et une anxiété quant à la procédure^{9,10,11}, et aboutir à une moindre adhésion aux soins. Une méta-analyse publiée en 2020¹² examinant les facteurs de non-adhésion au traitement répété par IVT montre en effet l'impact de la peur et de l'anxiété ressenties par les patients multi-injectés.

Nous avons complété cette revue de littérature par une enquête en ligne diffusée auprès de nos adhérents (31 répondants pour 2 semaines de collecte de réponses), 40% des répondants nous indiquent craindre les injections.

Cette peur a un réel impact sur l'observance des traitements par les patients : l'étude *Landscape*¹³ a ainsi montré que 50% des patients arrêtent le traitement au cours de leur 1ère année de traitement d'injections avec les anti-VEGF.

⁶ F. Baudin *et al.* [Epidemiology of acute endophthalmitis after intraocular procedures: a national database study](#), Ophthalmol Retina, (2022)

⁷ F. Baudin *et al.* [Epidemiology of acute endophthalmitis after intraocular procedures: a national database study](#), Ophthalmol Retina, (2022)

⁸ I.A. Rodrigues *et al.* Defining a minimum set of standardized patient-centered outcome measures for macular degeneration Am J Ophthalmol (2016)

⁹ S.-Y. Cohen *et al.* Avis d'experts : actualisation des bonnes pratiques des injections intravitréennes. Recommandations de la Société française d'ophtalmologie et de la Société française d'hygiène hospitalière, J Fr Ophtalmol(2020)

¹⁰ R. Mencucci *et al.* Triphasic polymeric corneal coating gel versus a balanced salt solution irrigation during cataract surgery: a postoperative anterior segment optical coherence tomography analysis and confocal microscopy evaluation J Cataract Refract Surg (2019)

¹¹ X. Zhang *et al.* Ocular surface disease and glaucoma medications: a clinical approach Eye Contact Lens Sci Clin Pract (2019)

¹² O.A. Polat *et al.* Effect of repeated topical povidone-iodine and antibiotic applications on meibomian glands and ocular surface parameters in patients with repeated intravitreal injections Eye Contact Lens (2021)

¹³ D'après C. Creuzot Garcher, "Incidence and Prevalence of Neovascular Age-Related Macular Degeneration in France between 2008 and 2018" (2022) Ophthalmology Science Volume 2, Number 1

De plus, les effets indésirables des injections ne doivent pas non plus être minimisés. Dans notre enquête en ligne, 46% des répondants nous ont signalé avoir ressenti des effets indésirables à la suite des IVT. Or, à ce jour, les bonnes pratiques de réalisation des injections ne décrivent que la prise en charge médicale clinique des patients et prennent rarement en compte les éventuels effets secondaires sur la surface oculaire ou la composante psychologique du vécu de la procédure.

Aussi, toujours dans la même enquête en ligne auprès de nos adhérents, 54% des répondants nous ont indiqué devoir faire au moins 30 minutes de temps de trajet pour aller réaliser ces injections. Cela s'ajoute au fardeau des IVT, puisque pour bon nombre d'entre nous les déplacements constituent une organisation lourde qui mobilise fortement nos proches et nos aidants.

Moins de 42% des répondants indiquaient ainsi pouvoir se rendre seuls à leurs rendez-vous pour les injections. A l'inverse, un peu moins de 17% des répondants signalaient se rendre à leurs rendez-vous d'IVT en taxi ou en véhicule sanitaire, tandis qu'un peu plus de 41% des répondants sont accompagnés par un proche soit en transport en commun soit en véhicule individuel.

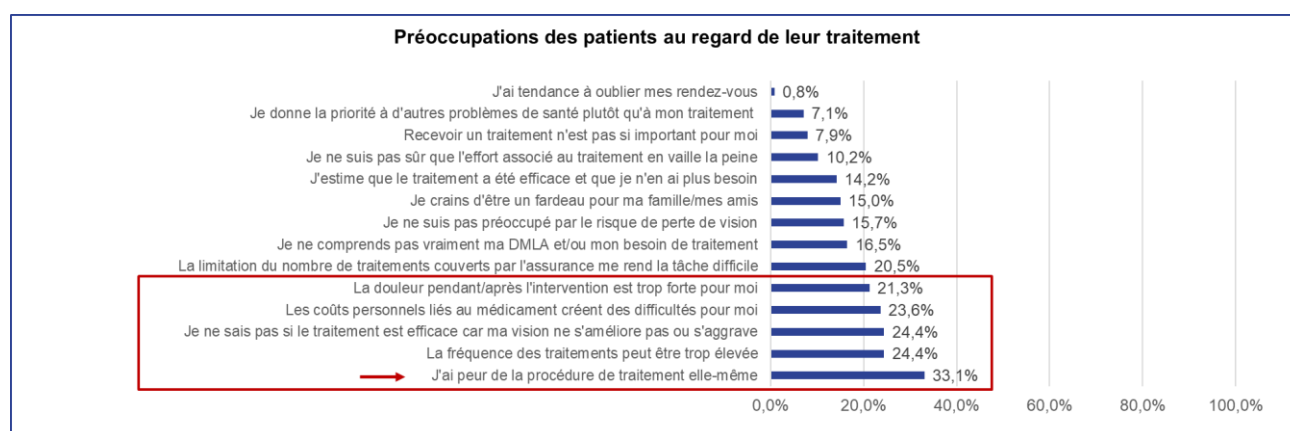
Il existe donc un réel besoin de mise en place d'un protocole centré sur le patient, permettant d'améliorer sa qualité de vie et une prise en charge avec une qualité et une sécurité optimale¹⁴. Un traitement qui propose un espacement des injections pour un résultat identique ou meilleure est de nature à nous convenir.

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

L'anxiété, la peur des injections, le risque inflammatoire même mesuré militent pour un traitement plus centré sur nos besoins, avec notamment des injections plus espacées. D'autant plus que, dans notre enquête en ligne, seuls 20% des répondants signalaient mieux supporter les injections avec le temps, tandis que 53% n'indiquaient aucun changement et même, pour 13% des répondants, une dégradation de la tolérance aux IVT.

L'enquête réalisée dans le cadre du Programme *Barometer en DMLA* menée en 2022 (3 centres participants en France) pour identifier les challenges de la prise en charge de la DMLA et les actions à mettre en place pour les relever a mis en lumière nos principales préoccupations.

Parmi celles-ci, la douleur, la fréquence des traitements et la peur de la procédure figurent parmi les principaux freins mis en avant :



¹⁴ <https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S0181551224000202>

Le même baromètre montre que 69,3% des patients considèrent qu'il est important d'allonger le délai entre deux injections. Il s'agit donc d'un enjeu important pour alléger le fardeau thérapeutique qui pèse sur nous.

Nous pouvons aussi souligner que la fréquence des traitements agit pour nous comme un rappel continu de la maladie : la DMLA et son traitement « bouchent » notre horizon. Dans l'enquête que nous avons réalisé auprès de nos adhérents, 62,5% des répondants indiquait subir des injections tous les mois, 37,5% toutes les 6 semaines et 12,5 % tous les 2 mois. Par conséquent 100% des répondants souhaiteraient pouvoir espacer les IVT.

1.3. Le médicament évalué



Les catégories ci-dessous sont proposées à titre indicatif, elles peuvent être utilisées dans certaines questions. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients principaux qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
- la qualité de vie (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives ;*
- la qualité de vie de ses proches ;*
- l'usage de ce traitement ;*
- le parcours de santé et de vie du patient ;*
- autres : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.*

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

Le libellé de l'indication demandée (ce qui désigne les patients concernés) par le laboratoire vous semble-t-il adéquat ? Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ? Merci de justifier votre réponse.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement remplir la rubrique « Si vous avez une expérience... » ci-dessous (§ 1.3.2).

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, ne remplir que la

rubrique « Si vous n'avez pas d'expérience... » (§ 1.3.3).

Vous pouvez laisser vide l'une ou l'autre de ces rubriques.

1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)

1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :

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



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

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 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 ?

L'espacement des injections permise par l'augmentation de la dose permettrait de réduire le poids du traitement de la DMLA. Cela constitue pour nous une amélioration substantielle du point de vue du fardeau thérapeutique.

De plus un espacement des traitements nous permettrait de ne plus être rappelé continuellement à la maladie et nous libérerait psychologiquement.

Au-delà du fardeau des traitements, Il faut dire que la DMLA augmentant avec l'âge, le vieillissement de la population laisse entrevoir une augmentation du nombre de patients concernés.

Ce phénomène doit être mis en perspective avec les difficultés de la démographie médicale, notamment en ophtalmologie, raréfiant la disponibilité des rendez-vous de santé visuelle dans les années à venir.

Un traitement nécessitant moins d'injections permettrait de libérer du temps médical pour accompagner l'augmentation du nombre de patients touchés par la DMLA.

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 ?

En matière médicale, comme dans tous les autres domaines, la crainte de la nouveauté peut s'avérer un écueil dans un premier temps. Par la suite, les résultats et les témoignages favorables conduisent à une utilisation généralisée.

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 notamment¹⁵ 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.

¹⁵ 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 fin¹⁶.



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,

¹⁶ Également appelées « variables d'intérêt »

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

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

☐ Oui

☐ Non

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

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 ?

Plutôt NON

Pour quelles raisons ?

Nous pouvons l'être si nécessaire mais c'est juste pour éviter des frais de déplacement et du temps que nous pouvons consacrer aux actions de Retina France qui nous permettent de récolter des fonds.

Nous avons expliqué ceci au téléphone en toute cordialité à monsieur Marc Guerrier.

Il faut savoir que tout le temps passé par les associations au sein des structures hospitalières ou commissions de santé diverses sont **TRES UTILES** mais se font au détriment des actions de terrain permettant aux associations d'exister, de récolter des fonds et de remplir leurs missions.

De nombreux correspondants locaux se sont investis dans des commissions d'usagers de santé ou dans des commissions extra-municipales et, de ce fait, ne font plus de lotos, de concerts, de soirées dansantes, de colloques pour les adhérents, de vide-greniers, etc...

C'est une réalité qu'il faut dire car viendra le jour où les Autorités devront dédommager les Associations au temps consacré à ces diverses commissions ou contributions.

Merci de votre compréhension.

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.

La population française vivant avec une DMLA exsudative s'élevait à 276 187 personnes sur près de 26 millions de Français âgés de plus de 50 ans (2018). Dans la plupart des cas, ces patients reçoivent des injections intra-vitréennes (IVT) répétées d'anti-VEGF. Ces traitements stabilisent la maladie, mais ne la guérissent pas et des contrôles ophtalmologiques rapprochés (souvent tous les mois) sont nécessaires.

Ces injections sont un réel fardeau pour les patients : la procédure en elle-même est inconfortable et surtout fortement anxiogène. La littérature comme notre enquête en ligne, diffusée auprès de nos adhérents (31 répondants pour 2 semaines de collecte de réponse), pointent l'impact de cette peur sur l'observance des traitements : près de 40% des répondants nous indiquent craindre les injections. De même, l'étude *Landscape* a montré que 50% des patients arrêtent le traitement au cours de leur 1^{ère} année de traitement d'injection avec les anti-VEGF. L'angoisse face aux injections est un frein réel à l'adhésion aux traitements.

Nous pouvons aussi souligner que la fréquence des traitements agit pour nous comme un rappel continu de la maladie : la DMLA et son traitement « bouchent » notre horizon. Dans l'enquête que nous avons réalisée auprès de nos adhérents, 62,5% des répondants indiquaient subir des injections tous les mois, 37,5% toutes les 6 semaines et 12,5 % tous les 2 mois.

Pour toutes ces raisons, avec une écrasante majorité, nous souhaiterions pouvoir espacer nos injections afin de mieux les supporter.

Enfin la fréquence des injections pose en elle-même un défi pour le système de santé : la population française étant vieillissante, l'incidence de la DMLA va continuer de croître, or la démographie médicale des ophtalmologistes pose de ce point de vue un réel problème. Un espacement des injections permettrait donc également de libérer un temps médical précieux.

Pour toutes ces raisons nous sommes favorables à un traitement qui nous permettrait d'avoir plus de temps entre deux IVT.

5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques



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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire



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

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

Nous avons réalisé une revue de littérature ainsi qu'une enquête en ligne sous la forme d'un questionnaire sur la plateforme Typeform (publiée du 3 mars 2024 au 17 mars 2024) et diffusée auprès de nos adhérents. En deux semaines de diffusion, nous avons ainsi réuni 31 réponses.

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

Via l'enquête en ligne et notre expérience propre de la maladie

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

Siège de l'association (pilote du projet Luc Licari- directeur associé) et trente adhérents participants actifs.

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

L'association a été aidée par la société A-Fluence pour la conception et l'administration du questionnaire en ligne ainsi que pour la revue documentaire.

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

72h de travail au total

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](#).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

