
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	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	13
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	14
1.3. Le médicament évalué	16
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	17
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	17
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	17
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	18
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	18
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	18
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	19
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	20
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	20
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	21
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	22
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	22
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	24
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	24
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	25
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	26

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.

ASSOCIATION DMLA

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association DMLA



Site internet :

www.association-dmla.org

Adresse postale (le cas échéant) :

CHI de Créteil – Service d’Ophtalmologie - 40, avenue de Verdun 94000 Créteil.

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☒ Association non agréée

☒ Association de Patients (loi 190) avec Conseil Scientifique

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

EYLEA 8mg.

Dénomination commune internationale (DCI) :

Aflibercept

8mg : (1 mL de solution injectable contient 114,3 mg d'aflibercept)

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

Patients atteints de DMLA néovasculaire/exsudative dite humide nécessitant un traitement par anti-VEGF.

L'Association DMLA ne peut répondre que pour ce qui concerne la DMLA, bien que ce produit soit aussi indiqué pour d'autres affections comme l'œdème maculaire diabétique

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 DMLA exsudative a souvent une progression rapide. L'incidence sur la vie quotidienne dépend du niveau de déficience. D'où l'importance d'un traitement précoce et de l'observation du traitement.

Deux étapes importantes : la perte de la conduite automobile et la perte de la lecture même avec les corrections adaptées. Chacune de ces étapes entraînent souvent des dépressions longues, d'autant plus que le handicap (ressenti) est plus important au début de la maladie.

La vie quotidienne est largement impactée dans ses aspects matériels, mais aussi avec des conséquences importantes sur la vie sociale et familiale. En particulier, les relations avec le voisinage, les amis, les enfants et particulièrement les petits-enfants deviennent difficiles et compliqués.

Même s'ils sont aujourd'hui mieux acceptés, les rendez-vous réguliers - souvent mensuels – sont des sources de stress intense : attente d'information sur l'évolution de la maladie (avec fréquemment une différence entre le ressenti du patient et le constat fait par le médecin au vu du résultat des examens) et le prescription – éventuelle – d'une IVT.

La mise en place d'un rendez-vous annuel avec l'ophtalmologiste traitant – qui commence à se mettre en place – apportera des réponses plus complètes.

Par ailleurs, l'éducation thérapeutique des patients qui démarre dans quelques centres devrait permettre de réduire ce stress avec une meilleure compréhension de la maladie et des soins.

C'est la chronicité du traitement qui est difficile à accepter, même au début du traitement. La répétitivité des rendez-vous est un vrai fardeau non seulement pour le patient mais aussi pour les aidants. La chronicité des soins, souvent mensuelle aujourd'hui, a une incidence forte sur la qualité de vie car ces rendez-vous – prioritaires – doivent être pris en compte dans l'organisation de la vie quotidienne.

Pour les personnes vivant seules et/ou éloignées du centre de soins, les impacts de la déficience visuelle et des soins (suivis et effets secondaires ressentis) sont largement majorés.

Pour les personnes encore en activité professionnelle, le handicap induit par la DMLA peut conduire à un arrêt de ces activités, même si dans de nombreux cas l'employeur met à disposition des moyens adaptés, en particulier pour ce qui concerne l'usage des outils informatiques. Les problèmes quotidiens, transport notamment, restent importants.

Il ne faut pas non plus négliger les aspects financiers car cette maladie engendre des coûts :

- si arrêt d'activité, perte du salaire ou des revenus,
- achats de matériels pour faciliter la vie quotidienne, la lecture, la préparation des repas, ...
- aménagement des locaux pour permettre en particulier les soins du corps,
- appel à du personnel paramédical pour pallier le handicap (instructeur de locomotion, aides à la vie journalière, ...
- coût des transports pour les consultations et les IVT,
- coût – éventuel – du reste à charge pour les soins de la DMLA (IVT).

La vie "numérique" devient difficile et coûteuse même si aujourd'hui il y a un effort de fait sur les options d'ergonomie et les commandes vocales.

Pour les personnes âgées le "BIP" de secours doit être adapté à la malvoyance, avec des forts contrastes et des couleurs très vives.

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 ?

NEI-VFQ 25 Adapté aux problèmes de la déficience visuelle

MOS-SF 36 Généraliste, mais qui complète le NEI-VFQ 25 pour une analyse globale

Grille AGGIR Utilisée principalement pour le calcul de l'APA, peu adapté à la déficience visuelle mais dont le questionnaire complémentaire avec 7 variables illustratives peu préciser une situation lorsque la DMLA est à un stade avancé.

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



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des « groupes », par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc.

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Impacts psychologiques*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

¹ Parfois appelés PROMs. Les 'Patient reported outcomes measures' sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

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

Selon le degré de la déficience visuelle, la vie quotidienne des personnes souffrant de DMLA exsudative est plus ou moins impactée, mais généralement, les personnes atteintes ont une forte volonté pour garder leur autonomie.

Dans de nombreux cas, une aide est indispensable pour certains aspects de la vie courante, là encore, ce degré d'aide dépend du niveau de déficience visuelle. Cette perte d'autonomie a un impact direct sur l'entourage en dépit des efforts faits par la personne atteinte pour rester la plus indépendante possible. Par exemple, les déplacements dans des lieux nouveaux sont toujours problématiques que ce soit en extérieur ou en intérieur.

La gestion administrative quotidienne devient très compliquée car elle implique la lecture et/ou l'écriture de documents.

La gestion des médicaments nécessite très vite une aide, non seulement pour lire les ordonnances mais aussi en raison de la diversité des galéniques (forme, couleur) d'un même médicament (fournisseur, fabricant, lot ; ...). Sans parler bien des notices souvent écrites en très petits caractères, illisibles dès que la vue baisse un peu.

Là aussi, les coûts ne sont pas à négliger, car l'aidant peut être amené à adapter son activité, ce qui peut avoir des conséquences sur son revenu.

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, facilités, etc.).

té 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.

Aujourd'hui en France, plusieurs médicaments sont disponibles pour le traitement de la DMLA exsudative :

- AVASTIN (bévacizumab à préparer mais sans d'AMM spécifique pour la DMLA, mais usage encadré avec une procédure de mise en œuvre spécifique et peu utilisé en raison des contraintes de préparation et de la lourdeur de cette procédure).
- LUCENTIS (ranibizumab en seringue préremplie) plus les biosimilaires Ranivisio (actuellement en flacon) et BOOVIZ (actuellement en flacon)
- EYLEA 2 mg (aflibercept en seringue préremplie)
- VABYSMO (faricimab actuellement en flacon)

Tous sont administrés par injection intra-vitréenne (IVT).

Selon le médicament, outre l'action Anti-VEGF, il y a des spécificités d'action propres à chaque médicament.

C'est l'ophtalmologiste traitant qui fait le choix du médicament et de la fréquence / date des prochaines injections, quelque fois, ce choix est discuté avec le patient.

La photothérapie dynamique PDT VISUDYNE (vertéporfine) n'est plus utilisée que dans de rares cas spécifiques, de plus son approvisionnement difficile.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les anti-VEGF actuellement disponibles visent à contrer le développement des néo-vaisseaux, à assécher les exsudats rétiens et stabiliser voire améliorer l'acuité visuelle.

La durée de l'action des médicaments dépend de la molécule, du développement de la DMLA, du patient et de sa réponse au traitement.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

La fréquence des IVT, ou des consultations de suivi, restent les doléances principales pour des raisons multiples, même si le temps du parcours hospitalier a diminué.

Ceci est aggravé par l'éloignement des centres pouvant réaliser un tel traitement, particulièrement en zone rurale et dans le centre de la France. L'anxiété est souvent présente avant la consultation au cours de laquelle se décidera de faire – ou non – une IVT.

La consultation, souvent rapide, ne permet pas au patient de s'exprimer comme il le voudrait, et est par là même source de stress. Bien que la piqûre dans l'œil soit toujours un peu stressante, c'est la fréquence de la venue au centre de soins, public ou privé, qui est mal ressentie. D'autant plus que d'autres pathologies peuvent s'ajouter à la DMLA et qu'en cas de forte déficience visuelle ces déplacements sont de vrais problèmes.

Les effets secondaires semblent limités, en raison des procédures de suivi qui ont été mises en place en fonction de la molécule injectée.

De plus, il faut séparer les effets dus à l'acte d'injection / IVT (irritation oculaire, saignement de la conjonctive, taches noires dans la vision, augmentation temporaire de la PIO, ...de ceux liés à la molécule elle-même. Les inconvénients les plus rapportés semblent liés à l'injection elle-même, abstraction faite des aspects transport et fréquence des consultations/IVT.

Quelques cas graves ont été signalés et ont été traités en urgence avec des mesures spécifiques à chaque cas.

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

L'efficacité des traitements est aujourd'hui limitée dans le temps.

L'apport des nouvelles molécules est encourageant sur ce point mais encore trop récent et limité pour en faire l'évaluation en vraie vie à moyen terme/

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.

L'EYLEA 8mg est indiquée pour le traitement de la forme néovasculaire de la DMLA chez l'adulte, et cette indication est suffisamment large pour recouvrir les cas rencontrés sur la DMLAn.

Des restrictions d'emploi sont indiquées, mais nous n'avons pas les compétences médicales pour juger.

Rappel : nous ne pouvons pas avoir d'avis pour les autres indications que la DMLA.



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.

1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Quels sont les principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



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

D'après les études qui ont été présentées, l'intervalle entre deux injections, en se basant sur l'acuité visuelle, est porté à 4 mois dans 70% des cas et à 3 mois dans près de 90% des cas. Cela représente une avancée importante pour le patient, en particulier par rapport à l'EYLEA 2mg, même s'il est noté une perte minime d'acuité visuelle (1,4 lettres pour 4mois et moins d'une lettre pour 3 mois).

Cet écart n'est pas significatif pour l'acuité visuelle ressentie, sachant de plus que l'acuité visuelle pour une même personne peut varier de façon significative au cours de la journée selon le moment, la fatigue, les conditions extérieures, . . .

La chronicité des soins est un fardeau important pour les patients et les aidants, elle n'est acceptée que par obligation, car elle influe directement sur la qualité de vie.

Aussi, tout allongement de l'intervalle entre deux injections est un bénéfice majeur pour le patient et les aidants. C'est de plus un facteur important pour éviter l'arrêt des soins avec toutes les conséquences néfastes que cela induit.

Pour que le bénéfice soit complet, il faudrait, après une période d'observation, éviter les rendez-vous intermédiaires, avec éventuellement la mise en place d'un suivi par le patient avec des moyens adaptés (autre que la grille d'Amsler).

Actuellement, l'EYLEA 8mg est proposé en flacon, on peut espérer raisonnablement qu'il sera proposé ensuite en seringue préremplie pour faciliter l'injection et minimiser les risques.

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 ?

Il faut d'abord noter qu'il n'est pas noté d'effets indésirables « Très fréquents » avec l'EYLEA 8mg.

Bien que les effets « Peu fréquents ou Rares » n'aient pas été analysés en raison de leurs très faibles fréquences. A une remarque près : la mention de « Cécité », que l'on retrouve aussi dans d'autres spécialités, provoque pour certains patients un rejet du traitement. C'est alors à l'ophtalmologiste d'expliquer le bénéfice du traitement par rapport à une absence de soins.

Les effets indésirables oculaires ou graves non oculaires sont du même ordre entre l'EYLEA 8mg et l'EYLEA 2mg. Avec le dosage 8mg, les risques d'énophtalmie n'apparaissent plus et le risque d'inflammation a diminué de presque moitié.

Dans les risques « Fréquent » mentionnés restent entre autres : la cataracte, la baisse de l'acuité visuelle, les corps flottants, l'augmentation de la PIO, ces risques apparaissent aussi dans les dossiers des autres traitements.

Plusieurs de ces effets peuvent être traités et certains ont d'une durée limitée.

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



Cette question porte sur le caractère innovant de l'usage du produit pour lequel la demande d'autorisation d'accès précoce est demandée.

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment² sur deux points :

- l'apport d'un changement substantiel en matière d'efficacité y compris sur la qualité de vie, de tolérance, de praticité ou de commodité d'emploi ou de parcours de soins ;*
- la couverture d'un besoin médical non ou insuffisamment couvert (ex. : usage adapté pour les enfants).*

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



Il est essentiel pendant l'accès précoce d'observer avec attention l'utilisation et les effets du médicament pour mieux le connaître et évaluer son efficacité et ses effets indésirables en « vie réelle ».

Les données relatives à l'utilisation et aux effets du médicament sont collectées auprès des patients de deux façons :

- par le médecin durant les consultations : le médecin prescripteur de ce médicament posera des questions aux patients sur l'état dans lequel ils se sentent avec le traitement ;*
- par les patients eux-mêmes entre les consultations : les patients (et/ou leurs proches dans certains cas) recevront un ou plusieurs questionnaires en ligne ou sous format papier afin de recueillir eux-mêmes des données de santé et plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.*

La façon dont cette surveillance et cette collecte de données sont organisées est décrite en détail dans un document spécifique nommé « Protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données », ou : PUT-RD.

Nous vous invitons à nous donner votre avis sur les données ou informations qu'il serait pertinent de recueillir du point de vue des patients et/ou des aidants.

² Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)



Dans cette rubrique, nous vous demandons d'exprimer les types de données ainsi que la façon de les recueillir qui sont les plus pertinentes de votre point de vue. Il n'est pas utile de mentionner les données purement médicales telles que les paramètres biologiques.

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

Quels sont les informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement évalué ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, recueil avec l'aide d'un patient expert, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

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



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

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique,

³ 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'utilisateurs lors de l'examen de la demande.

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

Dans l'état actuel, nous n'avons pas de retours patients sur le traitement par EYLEA 8mg.

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 perspective d'une diminution du nombre d'injection pour un résultat équivalent est une grande avancée pour les patients.

Même si aujourd'hui, les IVT sont globalement mieux supportées, l'espacement des injections est un bénéfice important qui diminue le risque de l'arrêt du traitement avec les conséquences irréversibles que cela entraîne. Cet espacement des IVT et des injections devrait induire une baisse globale du coût global de traitement de la DMLA.

Un traitement sans injection de la DMLA est un espoir qui deviendra peut-être un jour réalité !

L'attente d'un traitement pour la DMLA atrophique est extrêmement forte.

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)

5. 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 ?

Echanges directs ou indirects avec personnes atteintes de DMLA et leurs aidants.

Information par le biais des médias, des congrès et des revues spécialisées.

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

Echanges directs – en présentiel ou par téléphone -et remonté des informations par les responsables d'antennes qui font régulièrement des réunions avec des personnes atteintes de DMLA et par les demandes et informations qui arrivent sur notre Numéro Vert. L'analyse des échanges sur les réseaux sociaux apporte aussi un complément d'information. Un croisement des informations est de plus indispensable.

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

Adhérents de l'association, responsables d'antenne, secrétariat.

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

Recueil d'informations publiées (communiqués de presse, résultats d'études, congrès, comptes-rendus de congrès, revues spécialisées, réseaux sociaux...) et informations données par les médecins dans le cadre de conférences, interviews, ...

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

Une trentaine d'heures

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

L'utilisation de versions différentes de Word posent parfois des problèmes chronophages !

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

