

---

**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 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](mailto:contact.contribution@has-sante.fr) / 01 55 93 71 18.*

---



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

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

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

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

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

## Note importante

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

Si vous le souhaitez, vous pouvez n'utiliser que les cadres « Autres » qui peuvent être agrandis autant que nécessaire.

Seules les questions de la partie administrative tout au début de ce questionnaire sont obligatoires

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

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



*Il est obligatoire de remplir la rubrique suivante pour que votre questionnaire soit pris en compte. CE VOLET DU QUESTIONNAIRE NE SERA PAS PUBLIE*

## Identité de l'association ou du groupe

**Nom complet (suivi du sigle si applicable) :**

ENDOmind France

**Site internet :**

<https://www.endomind.org/>

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

9 avenue de Champagne 69410 CHAMPAGNE AU MONT D'OR

**Nature de la structure :**

☒ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☐ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

# Médicament sur lequel porte cette contribution

**Nom commercial :**

RYEQO

**Dénomination commune internationale (DCI) :**

Rélugolix, estradio, acétate de noréthistéro

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

Dans le traitement symptomatique de l'endométriose chez les femmes avec un antécédent de traitement médical ou chirurgical de leur endométriose

**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 ?**

L'endométriose peut avoir un impact sur la qualité de vie des personnes atteintes sur l'ensemble des aspects de l'existence :

- **Professionnelle**

L'endométriose pèse sur la vie professionnelle des femmes concernées, en rendant souvent difficile au quotidien l'exercice de leur métier et en freinant leur carrière dans certains cas. Ainsi, environ 25% des patientes décident de se réorienter afin de trouver un emploi compatible avec leurs symptômes et problèmes engendrés par la maladie. Une partie va même décrocher du monde de l'entreprise, même s'il peut être possible de bénéficier de certains avantages pour aider le maintien dans l'emploi selon les situations.

- **Sociale**

L'endométriose peut engendrer un isolement social, d'une part à cause de l'incompréhension que les proches peuvent avoir au regard de la maladie et d'autre part du fait d'annulation

d'activités du quotidien, comme des sorties et moments entre amis / familles à cause des douleurs.

- **Familiale**

L'impact sur la vie familiale est important. D'une part les femmes ont toujours aujourd'hui une charge mentale plus importante, d'autre part avec l'endométriose cette charge mentale est décuplée. En outre, le fait de ne pas pouvoir réaliser les activités souhaitées avec ses proches / enfants peut également générer de la souffrance. C'est d'autant plus difficile lorsque l'entourage n'est pas soutenant.

- **Sexuelle**

La vie sexuelle dans l'endométriose est souvent perturbée. Cela peut être dû aux douleurs ressenties pendant et/ou après les rapports, mais également à la baisse de libido qui peut être liée à la prise de traitement. Cela a un impact sur les patientes dans leur estime d'elle-même. Le couple peut également être mis à mal. Par ailleurs, environ 40% des femmes atteintes d'endométriose rencontrent des difficultés pour concevoir un enfant, ce qui constitue également une épreuve pour elle et pour leur partenaire. De fortes souffrances peuvent en ressortir.

- **Qualité de vie**

La qualité de vie est impactée à cause des symptômes ressentis. De plus, les traitements lourds et les opérations chirurgicales génèrent énormément d'anxiété, de remise en question sur la vie que l'on menait jusque-là. Les femmes qui souffrent d'endométriose doivent également s'occuper de leur situation médicale, ce qui est un véritable parcours du combattant qui ne leur laisse aucun temps de répit. La qualité est d'autant plus affectée qu'en plus des symptômes, l'endométriose entraîne chez certaines femmes : des états dépressifs, une fatigue chronique, une frustration, des troubles du sommeil, des difficultés à prendre soin de soi / de sa famille, des difficultés à assumer sa vie professionnelle, des difficultés à profiter de sa vie sociale.

- **Aspect financier**

Le reste à charge lié à la maladie peut être très lourd. A cet égard, il faut souligner que seulement 0,6% des patientes atteintes d'endométriose bénéficient actuellement de l'ALD. En outre, la gynécologie est l'une des spécialités médicales qui pratique le plus de dépassements d'honoraires et les femmes atteintes d'endométriose sont souvent renvoyées vers méthodes alternatives, dites "naturelles" dans la gestion de la douleur ou afin d'optimiser la fertilité, non prises en charge.

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 ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

SF36, EHP30, EHP5

### 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*

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

Le partenaire et l'entourage proche d'une femme atteinte d'endométriose sont eux aussi directement impactés. Ils peuvent se sentir seuls, affaiblis, impuissants face aux douleurs de la personne atteinte qui, à son tour, peut finir par s'enfermer dans la maladie. L'endométriose affecte les deux partenaires, c'est une maladie de couple. La question de la fertilité et la sexualité vont également impliquer directement le partenaire. Par ailleurs, il peut également avoir un impact financier de cette maladie sur les proches, lesquels vont compenser si la patiente ne travaille plus ou investir dans ce qui pourrait aider au quotidien la malade.

## **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.**

1. Traitements hormonaux
2. Prise en charge de la douleur par des anti-inflammatoires par un algologue
3. Traitements chirurgicaux
4. Méthodes naturelles : ostéopathie / kinésithérapie, acupuncture, yoga et activités sportives, alimentation anti-inflammatoire, sophrologie / hypnose / méditation, cures thermales gynécologiques

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

La contraception peut permettre de réguler les cycles et de diminuer l'abondance des flux. La prise d'une pilule en continu peut faire disparaître les règles. La progestérone permet de limiter les douleurs ainsi que le développement des symptômes de l'endométriose. De façon générale, les traitements hormonaux de première intention ralentissent l'évolution de la maladie mais l'endométriose peut toutefois continuer à progresser sur d'autres organes. Ces traitements hormonaux peuvent s'avérer efficaces pour canaliser les crises de douleurs des patientes. Ils sont pris généralement en continu de façon à bloquer l'apparition des règles.

La prise en charge de la douleur se base principalement sur des antidépresseurs et antiépileptiques à visée antalgique. Ils peuvent pour certaines soulager considérablement les douleurs.

La chirurgie est recommandée quand le traitement médical ne permet pas de calmer les douleurs de la patiente et que ces dernières ont un retentissement trop important sur son quotidien. La coelioscopie et les techniques mini-invasives sont privilégiées. Une technique exérèse complète a montré ses bénéfices sur la douleur.

Il existe également des méthodes alternatives, dites « naturelles » dans la gestion de la douleur ou afin d'optimiser la fertilité des patientes. Certaines femmes ressentent un réel bénéfice.

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

Les traitements hormonaux ne sont pas compatibles avec un désir de grossesse. Les analogues de la Gn-RH sont des médicaments injectables qui mettent la patiente dans un état de ménopause

artificielle et qui peuvent provoquer des effets secondaires importants (ostéoporose, bouffées de chaleur, vertiges, nervosité ...). Les traitements médicaux ont leurs limites : effets secondaires, absence de réponse positive sur les douleurs.

Les antidépresseurs et antiépileptiques utilisés dans le cadre de la prise en charge de la douleur peuvent provoquer des effets secondaires (nausées, endormissement, dépression ...).

Concernant la chirurgie, dans certaines situations une laparotomie peut être nécessaire. La chirurgie présente un risque important de lésions des nerfs au cours de l'intervention. Selon le type de lésions, la chirurgie n'est pas toujours possible pouvant provoquer un impact négatif sur la fertilité des patientes.

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

Il n'existe pas de traitements de l'endométriose qui ne sont pas contraceptifs pour la prise en charge de l'endométriose douloureuse.

### 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.

Libellé "Traitement symptomatique de l'endométriose chez les femmes avec un antécédent de traitement médical ou chirurgical de leur endométriose"

Ce traitement pourrait par la suite être élargi (si l'efficacité est démontrée) aux adolescentes qui viennent d'être diagnostiquées et qui n'ont pas encore eu de traitement hormonal ou qui ne souhaitent pas en avoir.



*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 ?**

- Diminution des douleurs
- Amélioration de la qualité de vie des patientes
- Absence ou au moins une diminution importante des effets indésirables

**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 ?**

- Effets secondaires potentiels

## 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 notamment<sup>1</sup> 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.*

---

1



*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 fin<sup>2</sup>.*



*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](mailto: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 ?**

Nous n'avons pas répondu à cette question car tout dépendra de la période de l'audition. Nous ne pouvons pas savoir à l'avance si une de nos bénévoles sera disponible pour participer à cette audition.

## 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.*

L'endométriose est une maladie multifactorielle, qui résulte de l'action combinée de facteurs génétiques, environnementaux et de facteurs liés aux menstruations. Cette maladie a un impact important sur la qualité de vie des patientes et affecte le milieu professionnel, social, sexuel et familial. Les thérapeutiques actuellement disponibles sont inadéquates parce qu'il n'existe aucun traitement permettant de guérir cette pathologie. Il existe autant d'endométrioses que de femmes atteintes. Afin de faciliter la prise en charge des femmes atteintes d'endométriose, il est nécessaire de trouver des traitements médicaux permettant à ces femmes de mener une vie "normale". Le médicament étudié répond aux besoins et attentes des patientes car s'il s'avère efficace, il pourrait améliorer la prise en charge des femmes atteintes et diminuer l'impact de la maladie dans le quotidien des patientes.

## 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 ?**

Le chapitre sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles a été rempli à l'aide des connaissances que nous avons actuellement sur l'endométriose. L'ensemble de ces informations sont disponibles sur nos documents destinés aux patientes et aux professionnels de santé et sur notre site internet. De plus, plusieurs de nos bénévoles ont été interrogées afin d'obtenir leur avis sur le quotidien avec la maladie.

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

L'expérience des patientes avec ce traitement n'a pas été recueillie, étant donné que ce traitement n'est pas encore commercialisé en France dans cette indication. De plus, compte tenu du délai pour répondre à ce questionnaire, nous n'avons pas eu le temps de faire un sondage sur nos réseaux sociaux sur une potentielle expérience de ce traitement à l'étranger par exemple.

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

Emma GALLAND (Secrétaire Générale Adjointe)

Marie Faure (Coordinatrice du pôle plaidoyer)

Véronique PEREIRA (Patiente experte)

#### **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 ?**

20 heures

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

C'est le premier questionnaire rempli par l'association, il nous a semblé complexe, long à remplir, avec un délai assez court.

Le nom du document devrait être renommé, en effet il porte à confusion lorsqu'on souhaite le remplir ce n'est pas un questionnaire (avec des cases à cocher) mais plutôt un dossier à compléter.

De plus, il faudrait transmettre aux associations, des documents concernant le nouveau traitement afin de pouvoir obtenir plus d'informations et pouvoir l'évaluer correctement.

## 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](#).

