
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 mars 2024

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	7
1. Questionnaire – Partie A	8
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	8
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	8
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	9
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	10
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
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	15
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	16
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	18
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	19

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.

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 française des patients atteints de maladies du mastocyte (mastocytoses, syndromes d'activation mastocytaire) - ASSOMAST

Site internet :

www.assomast.org

Adresse postale (le cas échéant) :

53 avenue des Ternes 75017 Paris

Nature de la structure :

- ☐ Association agréée au niveau national
- ☐ Association agréée au niveau régional
- ☒ Association non agréée (mais reconnue d'intérêt général)
- ☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Alliance Maladies Rares

Informations sur le financement de votre structure

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

☒ Oui

☐ Non



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

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

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : _____ 600 euros _____
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : _____ 600 euros _____
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 600 euros _____
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : _____ 600 euros _____

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2024	Dons et adhésions	2886	
2023	Dons et adhésions	3856	
2022	Dons et adhésions	2257	
2021	Dons et adhésions	2121	
2020	Dons et adhésions	407	

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

AYVAKIT

Dénomination commune internationale (DCI) :

Avapritinib

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

Remboursement – extension d'indication pour le traitement des adultes atteints de mastocytose systémique dite indolente (MSI en français, ISM en anglais) accompagnée de symptômes modérés à sévères qui ne sont pas contrôlés de façon adéquate par un traitement symptomatique.

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

☒ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



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 ?

145 MSI ont répondu à un questionnaire diffusé par l'association (296 mails aux adhérents actuels et anciens, 1260 vues sur les réseaux sociaux, soit 1556 « interrogés », toutes maladies mastocytaires confondues ; soit environ 10% de répondants). 87% des répondants étaient des femmes. La majorité des personnes avait plus de 35 ans. 16 personnes avaient moins de 35 ans (dont 3 MSI chez des enfants). Le plus jeune répondant avait 12 ans (son aidant a répondu au questionnaire). Le délai laissé pour répondre a été de 5 jours, laissant place à un biais probable : les patients les plus atteints n'ont pas répondu.

94% ont rapporté ressentir de la fatigue

74% de la douleur

69% des impacts psychologiques

67% des difficultés dans les actions de la vie quotidienne

62 % des difficultés dans la vie professionnelle

58% des difficultés dans la vie sociale

44% des difficultés dans leur vie affective

42% des difficultés pour les déplacements

Dans 61% des cas, la maladie entraîne des difficultés financières : impossibilité de travailler normalement ou à plein temps.

Chez l'enfant, la moitié des répondants a souligné l'impact sur la scolarité et notamment sur les activités sportives et ludiques (54%). Les symptômes de la maladie nécessitant de nombreux d'ajustement (température, repos, prise de médicaments, adaptation des repas), il est évident que les difficultés d'ajustement rencontrées par les adultes sont quasiment inapplicables en milieu scolaire ou l'uniformisation domine.

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 ?

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 / les aidants ?

Les plus gros impacts sur les proches aidants sont :

- psychologiques (56% des répondants),

- activités de la vie quotidienne (47%),
- vie sociale (44%),
- impacts sur d'autres membres de la famille (37%) qui ne sont théoriquement pas « aidants »,
- fatigue (34%),
- aspects financiers (32%),
- vie affective (31%), sachant que le terme proposé par la HAS a été repris, mais que ce que chaque malade inclus dedans est inconnu. Est-ce la « vie sexuelle », l'impossibilité de gérer un animal de compagnie, les avortements médicaux quand la maladie devient incontrôlable pendant certaines grossesses. En tout cas, si la vie affective est probablement essentiellement partagée avec les proches aidants, et que l'impact psychologique est de 56%, il est probable que ce 31% cache de grandes disparités.
- mobilité (23%).

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.

Les **médicaments** actuels sont essentiellement à visée symptomatique, ou bien sont efficaces sur un seul organe.

Même les médicaments dits **de fond** n'agissent pas forcément sur tous les organes : Xolair, Stelara, montelukast, entocort, midostaurine, elenestine, imatinib, avapritinib, plaquenil, interféron, colchicine, naproxène, cosentyx, dilupimab, prednisone, prednisolone, Low Dose Naltrexone, hydroxyurée.

Anti-histaminiques : cetirizine, lévocétirizine, aërius, reactine, xyzall, polaramine, famotidine, ébastine, cimétidine, agyraz, desloratadine, atarax, bilastine, inorial, zaditen, bilaska, loratadine.

Antalgiques au sens large : prégabaline, CBD, bêta-bloquants, venlafaxine, laroxyl, oxygène, oxycodone, sertraline, modopar, baclofène, trimébutine, duloxétine, méthadone, dantrium, eletriptan, kétamine, lamaline, tramadol, météospamsyl, paracétamol, ibuprofène.

Estomac/nausées/digestif : oméprazole et apparentés, zophren, cromoglicat de sodium, levocarnil, gaviscon, moprall, aprepitant, entocort.

Poumons : innovair, ventoline, singulair.

Sphère psy/sommeil/éveil : zopiclone, modiodal, wakix, arcalion, alprazolam, mirtazapine, prozac, escitalopram, paroxétine, medikinet, temesta, théralène, ritaline, mélatonine, tercian, imovane, lexiomil.

Os : supplémentation vitamino-calcique, actonel.

Vessie : Toviaz, Elmiron.

Yeux : opticron, vitamine A.

Epipen.

Ont également été évoquées la kinésithérapie, la sophrologie, et l'électrostimulation.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Globalement, les répondants ont souligné que les traitements permettaient une amélioration seulement partielle des symptômes. Le nombre de « crises » est diminué mais elles ne sont pas totalement absentes. La qualité de vie est perçue comme un peu meilleure mais reste insatisfaisante.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Somnolence, prise de poids, obligation de compliance (grande organisation nécessaire).

En termes pratiques, nombre de répondants ont souligné avoir l'impression de passer leur temps à prendre des médicaments, sont fatigués d'avoir à se déplacer chaque mois chez le médecin (ordonnances sécurisées de 28 jours) tout comme à la pharmacie.

Les répondants ont souligné que les injections étaient plus difficiles à administrer que les comprimés (organisation, douleurs éventuelles, attente de l'infirmier)

Quelle est la fréquence des bilans liés au suivi de votre traitement ?

Tous les mois pour les traitements sécurisés ou surveillés, à tous les 3 à 6 mois, très rarement tous les ans. Ce sont quand même des fréquences élevées pour une maladie sans véritable traitement spécifique. Le tout pour l'instant est de trouver la meilleure « recette » entre tous les médicaments symptomatiques.

Est-ce que les traitements actuellement proposés sont insuffisants et pourquoi ?

Les répondants ont globalement rapporté une stabilisation incomplète des symptômes ; le fait que la cause de la maladie ne soit pas résolue ; l'incapacité de travailler ; le rêve de retrouver de l'énergie ; l'angoisse de la prochaine rechute ; pas d'efficacité sur la douleur et la fatigue ; manque d'activité conséquent ; le moral finit en berne ; les tâches ne se font pas ; s'alimenter est difficile.

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 ? OUI

Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? OUI

D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ? à notre connaissance NON



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.

Quels sont, selon vous, les principaux aspects que le médicament AYVAKIT doit impérativement favoriser :

91% des répondants ont voté pour une amélioration de leur qualité de vie (fatigue physique, intellectuelle, vie sociale, activités), 25% pour aussi une amélioration de la qualité de vie de leurs proches aidants. Cette dernière semble naturelle à partir du moment où la qualité de vie individuelle serait améliorée.

78% veulent voir leur état de santé, leur guérison potentielle, et leur espérance de vie s'améliorer.

34% veulent voir améliorer leur parcours de soin.

L'usage du traitement ne retient que 11% des répondants, ce qui montre à quel point les personnes sont prêtes à des usages contraignants pour de l'amélioration clinique de leur état.

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 :

Si vous avez une expérience avec le médicament étudié AYVAKYT : (Sinon passez à la question suivante) quels sont ses avantages par rapport aux autres médicaments ?

3 personnes ont répondu une bonne tolérance au traitement, une énergie retrouvée, moins de fatigue, et une diminution ou disparition des tâches cutanées.

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 ?

1 répondant a évoqué de la rétention d'eau, avec gonflement du visage et membres inférieurs.

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.

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

- amélioration de l'état général, de la fatigue, de la douleur, et de la fréquence et de la gravité des chocs allergiques,
- enrayer la progression de la maladie,
- meilleure gestion des crises,
- vivre normalement sans injections,
- permettre une vie professionnelle,
- disparition des lésions cutanées,
- traitement de la cause,
- pouvoir manger normalement.

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 ?

90% des répondants craignent les effets indésirables, mais nombreux (environ la moitié) se disent aussi prêts à les accepter s'il y a un vrai bénéfice clinique.

Crainte qu'il ne tienne pas ses promesses (désillusions passées), qu'il soit en rupture de stock, qu'il soit incomptable avec des médicaments pour les comorbidités ; une efficacité modérée.

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la mastocytose systémique indolente est invalidante et/ou grave ?

- vie anormale, pas de vie affective, pas de vie professionnelle,
 - nombreux organes atteints,
 - malaises et chocs anaphylactiques parfois sévères,
 - douleur et fatigue et donc dépression,
 - des déclencheurs de crises nombreux et variables, parfois sur lesquels il est impossible d'agir,
 - réactions imprévisibles et symptômes généraux permanents,
 - lutte quotidienne et polymorphisme sournois,
 - chocs anaphylactiques fréquents,
 - peur d'un nouveau choc,
 - potentielle mutation en d'autres pathologies hématologiques.
- **Expression de certains répondants :** « C'est l'état d'épuisement physique et mental permanent. Cette sensation de me battre contre mon propre corps chaque jour qui passe ! Lutter pour faire du ménage, des courses, réfléchir à comment faire une tâche simple pour les autres, mais qui me coûte tellement ! Je me dis souvent que 4 planches réglerait mieux le problème... que de lutter en permanence ».
- « je n'ai aucun ami ».

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

Si oui, quelles sont les coordonnées de la personne référente ?

Nom – Prénom :

Adresse mail :

Téléphone :

Pour quelles raisons ?

La maladie est tellement handicapante qu'il n'est pas possible de trouver quelqu'un capable de se déplacer pour représenter l'Association.

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.

Est-ce que les traitements actuellement proposés dans cette maladie sont appropriés ? Pourquoi ?

Expression de certains répondants :

- non car ils ne sont pas assez efficaces, même les traitements de fond. Ce sont des « rustines », « des pansements »,
- non, preuve en est de nombreux médicaments sont prescrits hors-AMM,
- l'impression de toujours chercher la meilleure association de médicaments pour trouver un petit équilibre,
- parfois certains des symptômes sont améliorés
- les médicaments de fond disponibles ont trop d'effets indésirables

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

- 80% des répondants ont voté pour un apport substantiel en termes d'efficacité,
- 39% pour un apport substantiel en termes de tolérance,
- 30% pour un apport substantiel en termes de parcours de soin,
- 20% pour la commodité d'emploi.

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

Expression de certains répondants :

« ne pas avoir un jour, voire une heure, sans avoir de symptômes et ne plus faire peser les contraintes de la maladie sur mes proches qui s'inquiètent pour moi: c'est un espoir énorme ».

« Il en va de la vie intime, sociale et professionnelle de beaucoup de malades, que de pouvoir retrouver un semblant de vie normale, refaire des projets, etc. ».

« Je suis une femme de 34 ans , professionnelle de santé qui travaille en secteur hospitalier depuis 10 ans. Je soigne tous les jours et attend patiemment mon tour. La situation est invivable avec les symptômes mais je m'adapte. Parfois les patients que je reçois sont bien moins atteints que moi et je dois faire face à cette injustice silencieusement car mon travail est mon seul rempart contre la chute vers la précarité. Donner accès à un traitement qui soigne est essentiel lorsque celui-ci existe pour la guérison de la personne ou (j'entends la dimension fataliste de on ne peut pas soigner tout le monde), permettre à ses proches de vivre et notamment aux enfants de se développer sans écueils de la maladie d'une mère . (enfant conçus à avant le diagnostic) Je vous remercie pour votre lecture et considération ».

« Ce médicament est utilisé pour les formes agressives, je pense que des tests devraient être faits pour les formes indolentes, notre qualité de vie en dépend et la réduction de la liste de médicaments que je prends. En ce qui me concerne , je prends 15 à 20 molécules par jour ».

« Aidez-nous s'il vous plaît. Donnez-nous de l'espoir ».

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.

Il va s'en dire que, au vu de toutes les pages qui précèdent, une remarque sémantique s'impose :

Le mot INDOLENT est tout à fait inapproprié et témoigne d'une bien forte méconnaissance du handicap enduré, au moment du choix du nom de la maladie MSI : ce n'est pas parce qu'on ne meurt pas, que l'on peut vivre dans le mal.

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 diffusé à nos adhérents et sur les réseaux sociaux un questionnaire de type « Google Forms ». 145 MSI ont répondu, soit environ 10% des personnes atteintes de maladies mastocytaires interrogées.

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

Nous avons diffusé à nos adhérents et sur les réseaux sociaux un questionnaire de type « Google Forms ». 145 MSI ont répondu.

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

Clarisse Pean et surtout tous les répondants au questionnaire

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 ?

Quinze heures : c'est beaucoup pour une personne malade !

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

Non, même si les questions gagneraient à être synthétisées.

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

