
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament 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	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)	12
1.3. Le médicament évalué	13
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	13
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	14
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	14
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	14
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	15
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	15
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	15
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	17
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	17
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	18
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	19
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	19
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	21
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	22
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	23
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)

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

ASSOCIATION DEBRA FRANCE

Site internet :

www.debra.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

12 rue Jean Giono

69490 VINDRY SUR TURDINE (siège social)

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

X Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

FIMARAD, Alliance Maladies Rares, Fédération Française de la peau, Debra International, EURORDIS

Décrivez la composition du conseil d'administration et du bureau (titres et noms des personnes) des associations agréées :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

240

Nombre de bénévoles :

13

Nombre de salariés :

0

Principales activités de votre association ou groupe d'usagers :

Créée en 1985, Debra France est une association de malades et parents de malades atteints d'épidermolyse bulleuse, une maladie génétique rare entraînant une fragilité de la peau et des muqueuses. L'association a vocation à accompagner les malades et leur entourage au quotidien, faire connaître et communiquer sur la maladie, ainsi que soutenir la recherche pour développer des traitements adaptés.

*Données personnelles collectées*

Les données personnelles recueillies ci-dessus font l'objet d'un traitement de données par la HAS. Elles sont à destination des collaborateurs de la HAS. Elles servent uniquement à la gestion des contributions des associations aux travaux de la HAS.

Sauf opposition de votre part, vos coordonnées seront conservées pour pouvoir éventuellement vous solliciter pour d'autres travaux de la HAS. Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par mail à l'adresse suivante dpo@has-sante.fr

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 : env. 140 000€
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : env. 140 000€
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : env. 140 000€
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : env. 140 000€

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2023	Dons/collectes de particuliers	71 470 €	39%
2023	Dons institutionnels	38 270€	21%
2023	Organisation de manifestations	58 320€	35%
2023	Cotisations des adhérents	6 860€	4%
2023	Participation frais rencontres + ventes maillots	4 200€	1%

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

B-VEC (beremagene geperpavec)

Dénomination commune internationale (DCI) :

B-VEC (beremagene geperpavec)

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

B-VEC est indiqué pour le traitement des plaies chez les patients âgés de 6 mois et plus atteints d'épidermolyse bulleuse dystrophique (DEB) avec mutation(s) du gène de la chaîne alpha 1 du collagène de type VII (COL7A1)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

On surnomme communément les patients atteints d'épidermolyse bulleuse les « enfants papillon » car leur peau est aussi fragile que les ailes d'un papillon. Un nom poétique... pour une maladie qui ne l'est pas du tout.

Elle se décolle au moindre frottement et forme des bulles. Ces dernières laissent place à des plaies à vif qui peinent à cicatriser et récidivent sans cesse.

S'il existe différentes formes de la maladie, les bulles, érosions et plaies chroniques en constituent les principales manifestations. Quant à l'évolution de la maladie, elle est très variable. Les conséquences peuvent aller d'une gêne modérée à des formes rapidement mortelles, en passant par des affections responsables de handicaps très graves en raison des complications. Au-delà de la prise en charge de la douleur, l'épidermolyse bulleuse requiert la mise en place de protocoles de soins cutanés spécifiques au quotidien, durant en moyenne 2 h.

Les plaies doivent être nettoyées et des pansements non adhésifs doivent être appliqués fréquemment pour protéger les plaies et permettre la cicatrisation. Le retrait des pansements se fait par trempage dans de l'eau chaude ou à l'aide de compresses humides. Après avoir nettoyé

les plaies, les nouveaux pansements sont appliqués. Le changement de pansement est très douloureux et prend beaucoup de temps.

De plus, cette maladie génétique rare nécessite une prise en charge multidisciplinaire, avec des compétences médicales (dermatologue, psychiatre, dentiste, gastroentérologue, ophtalmologue, ORL, stomatologue, généticien...) et paramédicales (psychologue, diététicien, infirmier, kinésithérapeute, ergothérapeute, équipe socio-éducative...). Il faut coordonner tous ces soins.

La complexité de l'EB qui concerne bien plus que la peau : dans les cas graves, cette maladie devient une maladie systémique qui touche tous les organes et rend impossible une vie normale (fibrose, inflammation, démangeaisons, fragilité). L'EB couvre à elle seule l'ensemble des problèmes dermatologiques connus.

De grandes différences existent entre les différents types mais aussi parfois au sein d'un même type. L'expression de la maladie peut être très variable.

L'EB dystrophique (EBD) entraîne dans ses formes les plus sévères de multiples complications médicales secondaires (par exemple, anémie, malnutrition, sténose de l'œsophage,

susceptibilité aux infections) qui entraînent souvent une déficience physique (rétractions articulaires avec mains en moufle, incapacité à marcher ...), difficultés voire incapacité à s'alimenter entraînant une pose de gastrostomie (manque d'appétit, sténose oesophagienne ...).

En outre, il existe une incidence accrue de carcinome épidermoïde cutané (CEC) agressif à un âge plus jeune que dans la population générale. Chez les patients atteints de d'EBDR sévère généralisée, le CEC est la première cause de décès des patients au milieu de la quarantaine et peut survenir dès l'adolescence.

Le coût de l'EB : je l'estime entre 60 K€ et 100 K€ par an pour mon enfant entre les pansements, les hospitalisations, les déplacements dans les centres spécialisés, les interventions des professionnels de santé locaux

Le fardeau est beaucoup plus difficile à mesurer avec des chiffres, mais il est ÉNORME.

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

☐ Non

☒ Oui, lesquels ? EB-QoL

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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



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

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

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

- Fatigue intellectuelle ou physique*
- 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*

La charge générée par cette maladie est énorme, non seulement pour le patient et ses aidants, mais aussi pour les parents (qui sont malheureusement souvent aussi les soignants du fait d'une cotation des soins infirmiers non adaptée dans la nomenclature) et les professionnels de santé.

Nous recevons chaque mois des cartons entiers de pansements que nous devons déballer, stocker et éliminer

+ réception des poches d'alimentation par sonde parfois Tout cela représente également une véritable charge mentale.

Il s'agit d'une maladie à retentissement psychologique et social fort, impactant grandement la qualité de vie de la personne atteinte ainsi que de son entourage.

La fratrie souffre souvent du manque d'attention et de temps de la part des parents.

« Je rêve de tomber en-dessous de ma sœur pour l'attraper et l'empêcher de se faire mal ».

De nombreux aménagements sont nécessaires (salle de soins, baignoire plutôt que douche, voiture plus grande pour transporter le matériel).

Importante consommation d'eau et d'électricité pour laver linge de maison et vêtements souvent tâchés par le suintement des plaies.

Un des deux parents est souvent contraint de réduire son temps de travail voire même cesser de travailler. Le risque de chute à l'école nécessite de pouvoir intervenir rapidement, la durée et la charge émotionnelle des soins est lourde au quotidien.

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

Les parents-soignants connaîtront souvent dépression ou épuisement au cours du parcours.

Au sein de l'association, en 10 ans, 2 jeunes mamans se sont suicidées.

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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Aucun traitement à ce jour ne permet la cicatrisation **durable** des plaies avec un rétablissement de la protéine défaillante / manquante (COL 7).

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

On ne peut comparer ce traitement avec aucun autre puisqu'il n'existe aucun équivalent sur le marché.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Les traitements à ce jour sont uniquement symptomatiques → pansements

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Aucun traitement sur le marché ne s'adresse aux causes de la maladie ni à son retentissement systémique (inflammation, anémie, dénutrition, ostéoporose), ostéoarticulaire (synéchies , rétractions) ni à l'atteinte muqueuse

1.3. Le médicament évalué



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

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

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



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

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, ne remplir que la rubrique « Si vous n'avez pas d'expérience... » (§ 1.3.3).

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

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

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

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



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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Fermeture de plaies très étendues ouvertes depuis des années.

Traitement indolore à appliquer et même lors des soins (certaines pommades antibiotiques par exemple peuvent rendre les plaies très sensibles, ce n'est pas le cas avec B-Vec).

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)

Il suppose une application hebdomadaire donc de nombreux déplacements. Il est indispensable de trouver des solutions pour emmener le traitement au patient (ou du moins au plus près de son domicile) et que ce ne soit pas le patient qui aille au traitement. Le fardeau du quotidien est déjà bien trop important.

Par ailleurs les centres de référence ne sont pas en capacité d'accueillir les patients en grand nombre pour un traitement hebdomadaire.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

- Nous attendons que le traitement permette :
 - de cicatriser les plaies chroniques de grande taille et ainsi réduire la durée des soins et la douleur.
 - voire de réduire l'inflammation systémique générale et donc améliorer l'état nutritionnel voire constater une prise de poids, réduction de l'anémie liée à l'inflammation...
- Gain de la mobilité articulaire (plaies et pansements dans des zones de fortes mobilisations comme l'aîne réduisent l'étirement et la mobilité).
- qu'il soit simple d'utilisation
- qu'il soit accessible à domicile afin d'éviter une grosse charge supplémentaire de temps et d'organisation pour se rendre dans un centre, et la fatigue qui en découle pour le patient et son aidant
- Au final, qu'il améliore la qualité de vie et permette l'accès à des activités difficiles voire impossibles (se baigner ...)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

- Que le prix du traitement soit bloquant ou limite son accès
- Que les familles ne s'épuisent si elles doivent se déplacer loin chaque semaine
- Peur du sentiment d'injustice si seuls quelques malades peuvent y avoir accès

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.

Les familles concernées par cette terrible maladie sont davantage en mode « survie » que « vie ». Il y a une réelle urgence à améliorer la qualité de vie des personnes et leurs proches, à défaut de pouvoir encore guérir la maladie.



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 notamment¹ 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)

Aucun traitement à ce jour ne permet la cicatrisation **durable** des plaies avec un rétablissement de la protéine défailante / manquante (COL 7).

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*

¹ Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)

plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.

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

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



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

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

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

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 fin².



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

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

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

☒ Oui

☐ Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

non

² Également appelées « variables d'intérêt »

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 : SAUVESTRE Angélique

Adresse mail : angelique.sauvestre@debra.fr

Téléphone : 07 87 14 08 47

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Je souhaite pouvoir apporter mon savoir expérientiel de la maladie, en tant que maman d'une enfant de 10 ans atteinte de cette maladie (EBDR).

Impliquée dans l'association depuis 9 ans, je suis par ailleurs membre du collège des relecteurs pour l'INSERM, titulaire de la formation 40h ETP, très impliquée dans le réseau recherche de Debra international qui reconnaît maintenant mon expertise et ma pertinence. Pour toutes ces raisons je pense pouvoir vous apporter des informations essentielles.

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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Globalement, le fardeau généré par la maladie de Deb est énorme, et la qualité de vie du patient et de son/ses aidant(s) est extrêmement médiocre.

Outre la gestion de nombreuses plaies chroniques et de la douleur, du prurit et de l'infection qui y sont associés, les patients doivent relever les défis quotidiens d'un grand nombre de comorbidités, dont l'ostéoporose, la dysphagie et la sténose de l'œsophage, le carcinome épidermoïde, la fatigue, la détresse émotionnelle et psychologique, la malnutrition sévère ; détresse émotionnelle et psychologique, malnutrition sévère, complications gastro-intestinales, ophtalmologiques et bucco-dentaires, entre autres, qui affectent chaque instant de leur vie depuis la naissance.

Incroyablement douloureuses, les procédures de soins des plaies incroyablement douloureuses peuvent prendre de 2 à 4 heures, voire 6 à 7 heures par jour, ce qui ne laisse que peu ou pas de temps à consacrer à l'éducation, au travail et aux activités sociales. Les limitations physiques dues à la fatigue et aux déformations peuvent grandement affecter les possibilités d'étudier ou de travailler, entravant la capacité à gagner sa vie et incitant au stress que cette situation induit.

Ces limitations peuvent également entraîner un manque d'indépendance et une grande dépendance à l'égard des autres pour accomplir les tâches et les activités quotidiennes

Pour les soignants (généralement les parents), leur vie tourne autour de la gestion de l'état de leur enfant. Il n'est pas rare que l'un des parents arrête de travailler pour s'occuper de son enfant.

Il est indispensable de trouver des solutions pour emmener le traitement au patient (ou du moins au plus près de son domicile) et que ce ne soit pas le patient qui aille au traitement. Le fardeau du quotidien est déjà bien trop important.

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)

Photographies de patients atteints d'EB dystrophique récessive (RDEB), procédures post-chirurgicales, conséquences de la vie avec cette maladie. Parce que les images de cette maladie visible parlent mieux que les mots.



Le résultat d'une simple glissade sur le bord de l'escalier en portant pourtant des pantoufles.
 Quantité de pansements nécessaire au **quotidien** pour une patiente de 10 ans atteinte d'EBDR.



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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Connaissances personnelles + Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDs).

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Expérience personnelle + échange avec 2 autres personnes bénéficiant de l'accès compassionnel.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Membres du Conseil d'Administration de l'association ayant un enfant concerné par la maladie.

Nombre : 5

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Aucune contribution extérieure

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3h

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Aucune difficulté particulière si ce n'est parvenir à trouver le temps nécessaire pour mobiliser la participation du réseau et le retranscrire sur ce formulaire.

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

