
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	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	11
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	11
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 ?	14
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	14
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	15
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	16
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	16
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	18
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	24

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

La HAS dispose de toutes les données médico-scientifiques, mais ne peut pas par elle-même donner les arguments de réflexion du point de vue des patients ou usagers concernés.

C'est pourquoi vous êtes invité(e)s à contribuer aux évaluations.

La Commission d'évaluation économique et de santé publique rend un avis économique sur certains de ces médicaments. La présente contribution lui sera transmise systématiquement.

L'équipe du « service engagement des usagers » se tient toujours à votre disposition pour toute question ou échange. Contact : contact.contribution@has-sante.fr / 01 55 93 71 18.



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

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

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

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

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

Note importante

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

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

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

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

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



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) :

Association Santé respiratoire France

Site internet :

www.sante-respiratoire.com

Adresse postale (le cas échéant) :

115 rue Saint Dominique, 75007 Paris

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).

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Santé respiratoire France n'est pas une association agréée

Composition des associations non agréées et nature des groupes d'utilisateurs :

Santé respiratoire France est une association loi 1901 qui rassemble des patients, des aidants et des professionnels de santé (5 000 adhérents)

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

5014 adhérents

Nombre de bénévoles :

25

Nombre de salariés :

1

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

L'association Santé respiratoire France contribue par ses actions à améliorer la prise en soins et la qualité de vie des 10 millions de personnes touchées par les maladies respiratoires chroniques en France et celle de leurs proches. Ses missions sont d'alerter l'opinion et les pouvoirs publics, d'informer et de rassembler. Site internet : <https://sante-respiratoire.com/>

Personne contact pour les contributions (les données de cette rubrique ne seront pas publiées) :

- Prénom NOM : Frédéric LE GUILLOU
- Fonction : président Santé respiratoire France
- Adresse électronique : president@sante-respiratoire.com
- Téléphone : 06 62 86 32 52

**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 : **302 300** (2021)
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : **229 580** (2022)
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : **240 0000** (2023)
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : **286 000** (2024)

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2024	ALK	20 000	Moins de 10 %
2024	Astra Zeneca	40 000	Moins de 20 %
2024	Chiesi	40 000	Moins de 20 %
2024	GSK	40 000	Moins de 20 %
2024	Murprotec	40 000	Moins de 20 %
2024	Resmed	20 000	Moins de 10 %
2024	Sanofi	46 0000	Moins de 20 %
2024	SOS Oxygène	40 0000	Moins de 20 %
2023	Astra Zeneca	40 000	Moins de 20%
2023	ALK	20 000	Moins de 10 %
2023	Chiesi	40 000	Moins de 20%
2023	GSK	40 000	Moins de 20 %

2023	Resmed	20 000	Moins de 10%
2023	SOS Oxygène	40 000	Moins de 20 %
2023	Sanofi	40 000	Moins de 20 %
2022	Astra Zeneca	40 000	Moins de 20 %
2022	Chiesi	40 000	Moins de 20 %
2022	GSK	40 000	Moins de 20 %
2022	Sanofi	20 000	Moins de 10 %
2022	SOS Oxygène	40 000	Moins de 20 %
2022	Philips	40 000	Moins de 20 %
2022	Alizé Santé	4 000	Moins de 2 %
2022	Asdia	5 580	Moins de 3 %
2021	Astra Zeneca	40 000	Environ 15 %
2021	Chiesi	40 000	Environ 15 %
2021	GSK	40 000	Environ 15 %
2021	Novartis	40 000	Environ 15 %
2021	SOS Oxygène	40 000	Environ 15 %
2021	Philips	40 000	Environ 15 %
2021	PulmonX	13 500	Moins de 5 %
2021	WE Fight	20 000	Moins de 10 %
2021	Boehringer	28 800	Moins de 15 %

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

DUPIXENT

Dénomination commune internationale (DCI) :

Dupilumab

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

DUPIXENT est indiqué chez les adultes en traitement de fond additionnel de la BPCO caractérisée par un taux élevé d'éosinophiles sanguins, **non contrôlée** par l'association corticostéroïdes inhalés (CSI), bêta-2-agoniste à longue durée d'action (LABA) et antagoniste muscarinique de longue durée d'action (LAMA) ou par l'association LABA/LAMA seule si les CSI ne sont pas adaptés.

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

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☐ En vue du remboursement de droit commun

☒ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



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

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

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

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

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

La BPCO est **une maladie chronique grave pulmonaire** qui se caractérise par **une inflammation et une obstruction lente et généralement progressive des bronches**.

La qualité de vie des personnes concernées s'en trouve fortement impactée

→ L'essoufflement, une souffrance physique et psychologique

Les symptômes de la maladie (dyspnée, essoufflement, mais aussi toux et expectorations) génèrent **une grande fatigabilité**. Les personnes concernées éprouvent des **difficultés à réaliser les différentes tâches de la vie quotidienne** (sociales, amicales, familiales et professionnelles). Les risques de déconditionnement musculaire et d'isolement social sont alors majeurs. L'impact sur le sommeil, le moral et l'humeur, génèrent par ailleurs du stress, de l'anxiété, ou encore de la dépression.

→ Les crises qui aggravent la maladie, appelées « **exacerbations** », même modérées, peuvent avoir un fort retentissement sur la qualité de vie des patients.

→ Une vie professionnelle impactée¹

- 33 % des malades diagnostiqués BPCO pendant leur vie active ont dû changer de métier ou arrêter de travailler. Ce pourcentage atteint 70 % pour les BPCO sévères (stade 4), 17 % pour les BPCO légères (stade 1).
- 29 % connaissent une évolution négative de leur situation financière depuis la détection de leur BPCO.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients² qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☐ Oui, lesquels ?

Enquête menée par l'association SRF, « BPCO & Autonomie : impact de la BPCO sur la qualité de vie au quotidien » (2016).

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 ?

Un impact majeur sur la vie familiale et les aidants

¹ Santé respiratoire France, enquête BPCO et Autonomie, impact de la BPCO sur la qualité de vie au quotidien, NXA, Mai 2016.

² Parfois appelés PROMs. Les '*Patient reported outcomes measures*' sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

- **Parfois une incompréhension des conséquences de la maladie sur la vie quotidienne.** La difficulté est « de faire comprendre sa grande fatigabilité à l'entourage » et « que le repos physique ne suffit pas pour se régénérer » (Verbatim de patient).
- **Parfois une « sur protection »** du patient pour « ne pas l'essouffler ».
- **Souvent une souffrance psychologique « en miroir »** de ce que ressent le patient (stress, anxiété, dépression), entraînant un repli social.

Dans certaines situations, par exemple en cas d'hospitalisation, les proches aidants doivent **aménager leur quotidien / arrêts de travail**.

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.

Aujourd'hui, les traitements disponibles dans la BPCO comprennent les bronchodilatateurs, les corticoïdes inhalés, la méthylxanthine, les antibiotiques, les anti-oxydants, la vaccination pour prévenir les infections respiratoires, le sevrage tabagique, la ventilation non invasive, l'oxygénothérapie, les valves endobronchiques, la chirurgie, la transplantation pulmonaire, etc. ainsi que la réadaptation respiratoire et l'activité physique, adaptée ou en autonomie.

Toutefois un grand nombre de patients demeurent « non-contrôlés », en impasse thérapeutique, c'est-à-dire dont les symptômes ou des épisodes d'infections aigus persistent malgré leur prise en charge.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Bien que les bronchodilatateurs offrent un confort respiratoire et réduisent les crises qui aggravent la maladie (appelées « exacerbations », nécessitant parfois une corticothérapie par voie générale (systémique) et/ou une hospitalisation), leur efficacité reste limitée. Par conséquent, il est nécessaire de trouver de nouveaux médicaments capables non seulement de diminuer le nombre d'exacerbations, mais aussi, dans l'idéal, d'améliorer la capacité respiratoire.

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

Un grand nombre de patients demeurent « non-contrôlés », en impasse thérapeutique, c'est-à-dire avec des symptômes ou des épisodes d'infections aigus persistant malgré leur prise en charge. Ces patients - entre **30 000 et 60 000 patients en France** - ne répondent pas aux traitements actuellement disponibles. Ce nouveau traitement, le dupilumab, représente pour eux un grand espoir.

1.3. Le médicament évalué



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

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

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



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

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

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

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

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

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



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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



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

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

Cette nouvelle solution thérapeutique, le dupilumab, représente une chance pour ces patients BPCO souffrant d'exacerbations aiguës et en impasse thérapeutique, pour :

- Réduire le risque d'exacerbations dont l'impact sur la qualité de vie est majeur et aux conséquences irréversibles (cf impacts individuels décrits dans la partie A).
- Améliorer significativement leur fonction respiratoire.
- Améliorer significativement leurs symptômes.
- Améliorer significativement leur qualité de vie, sans oublier celle de leurs proches aidants.
- Diminuer les hospitalisations en nombre et en durée

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 ?

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 ?

- Non contrôle de la maladie
- Plus de 2 exacerbations par an
- Une hospitalisation dans l'année pour exacerbation
- Rupture de lien social et isolement
- Déconditionnement physique

- Absentéisme et arrêt de travail en rapport avec la maladie
- Les comorbidités associées (cardiovasculaire, ostéoporose, métabolique ...)

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

- Handicap physique et social malgré une bonne observance des traitements inhalés et réadaptation respiratoire
- Cout direct des traitements et du non contrôle de la maladie sévère avec hospitalisations qui pourraient être évitées , cout indirect sociétal des arrêts de travail
- Mortalité estimée à 18 000 morts par an

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 notamment³ 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)

- efficacité d'action sur des nouvelles classes thérapeutique et des patients ciblés (eosinophiles, exacerbation)
- mécanisme d'action
- type injection avec stylo auto injectable
- amélioration de observance

³ Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)

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.



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 ?

- Administration simple avec stylo auto injectable
- Auto questionnaire sur le contrôle de la maladie
- Amélioration des signes clinique : Diminution de la dyspnée, de la toux et des expectorations dans les 4 à 6 mois suivant introduction traitement
- Amélioration de la qualité vie avec amélioration de la vie sociale

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)

- Mise en place d'une télésurveillance y compris en dehors de l'oxygénothérapie et de la ventilation non invasive avec auto-questionnaire de suivi et gestion d'alertes dans le cadre d'un protocole de soins pluriprofessionnel avec équipe de soins spécialisées et avec infirmière en pratique avancée
- C'est l'association de médicament innovant et d'organisation innovante qui permettront d'améliorer le suivi et la qualité de vie des patients en utilisant la santé numérique comme outil complémentaire au médicament

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 fin⁴.



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** J'ai réalisé la demande auprès de la HAS et signé un protocole de confidentialité. Malgré cela, aucun document ne l'a été envoyé dans les temps pour parcourir le parcours

⁴ Également appelées « variables d'intérêt »

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

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

Nom – Prénom : Frédéric le Guillou

Adresse mail : president@sante-respiratoire.com

Pour quelles raisons ?

Pour pouvoir exposer nos arguments et notre vision quant à l'opportunité que représente cette nouvelle solution thérapeutique pour les patients BPCO exacerbateurs non contrôlés, en impasse thérapeutique et pour qui cette nouvelle thérapeutique représente un espoir d'amélioration significative de leur fonction respiratoire et de réduction des crises d'exacerbations.

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que ...
- Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

La BPCO est **une maladie chronique grave pulmonaire** qui se caractérise par **une inflammation et une obstruction lente et généralement progressive des bronches**. 3,5 millions de personnes seraient touchées en France par cette maladie qui ne guérit pas (un chiffre sous-estimé, seuls 20% des patients à risque étant diagnostiqués²). Selon l'OMS, la BPCO deviendrait la 3^{ème} cause de mortalité dans le monde en 2030.

→ Cf impacts décrits dans la partie A du dossier.

Une prise en soin adaptée peut permettre, pour une partie des patients, de stabiliser la maladie. Toutefois, bien que les bronchodilatateurs offrent un confort respiratoire et réduisent les crises qui aggravent la maladie (appelées « exacerbations », nécessitant parfois une corticothérapie par voie générale (systémique) et/ou une hospitalisation), leur efficacité reste limitée. Par conséquent, il est nécessaire de pouvoir proposer de nouveaux médicaments capables non seulement de diminuer le nombre d'exacerbations, mais aussi, dans l'idéal, d'améliorer la capacité respiratoire.

Entre **30 000 et 60 000 patients BPCO en France**, ne répondent pas aux traitements actuellement disponibles et se retrouvent dans une impasse thérapeutique, sans alternative proposée à ce jour, avec des symptômes ou des épisodes d'infections aigus qui persistent malgré leur prise en charge.

Aucun autre traitement n'existant actuellement dans cette indication, cette biothérapie innovante, le dupilumab, représente un grand espoir pour les patients BPCO actuellement en impasse thérapeutique, et ne répondant pas aux traitements actuellement proposés. Sans solution alternative, leur qualité de vie s'en trouve fortement impactée.

→ **L'étude NOTUS** confirme les résultats de l'étude BOREAS publiée en 2023. Elle apporte des preuves supplémentaires d'efficacité de cette biothérapie, le dupilumab ([article en ligne](#)).

² Guide parcours de soin BPCO, indicateurs de suivi : https://www.has-sante.fr/jcms/p_3329428/fr/bpc-des-indicateurs-de-qualite-pour-evaluer-le-parcours-de-soins-des-patients

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 ?

L'association Santé respiratoire France a réalisé plusieurs travaux, parmi lesquels :

- Enquête de qualité de vie menée par l'association Santé respiratoire France (anciennement Association BPCO), « BPCO & Autonomie : impact de la BPCO sur la qualité de vie au quotidien » (2016).
- Publication dans la revue des maladies respiratoires « BPCO et autonomie : impact de la BPCO sur la qualité de vie au quotidien » (janvier 2017) ([lien vers la publication en ligne](#)).
- Table ronde 19 octobre 2023, « Vivre avec une BPCO : comment répondre aux besoins ? » ([Replay et synthèse](#))

Autres sources : Etude - Avancée prometteuse dans le traitement de la BPCO : une 1ère biothérapie améliore la capacité respiratoire ([article](#) sur le site de l'association)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Odile SAUVAGET (Directrice Santé respiratoire France) et Frédéric Le Guillou (président Santé respiratoire France)

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 ?

45 min

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

