
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

Sommaire

Introduction	3
Note importante	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	6
1. Questionnaire – Partie A	7
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	7
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	7
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)	11
1.3. Le médicament évalué	12
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)	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	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)	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	17
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	18
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	20
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	21
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	22
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	23

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.

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

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

Identité de l'association ou du groupe

VIVRE AVEC UNE NMP

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Site internet :

<https://www.vivreavecunenmp.com>

Adresse postale (le cas échéant) :

c/o K. Tourmente-Leroux, 2 côte du Froc , 27950 La Chapelle-Longueville

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☒ **Association non agréée**

☐ Autre (préciser) :

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

MPN ADVOCATES

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

INREBIC

Dénomination commune internationale (DCI) :

Fédratinib

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

Réévaluation dans le traitement de la splénomégalie ou des symptômes liés à la maladie chez les patients adultes atteints de myélofibrose ou une thrombocythémie essentielle qui sont naïfs d'inhibiteur de Janus kinase ou qui ont été traités par ruxolitinib.

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. :

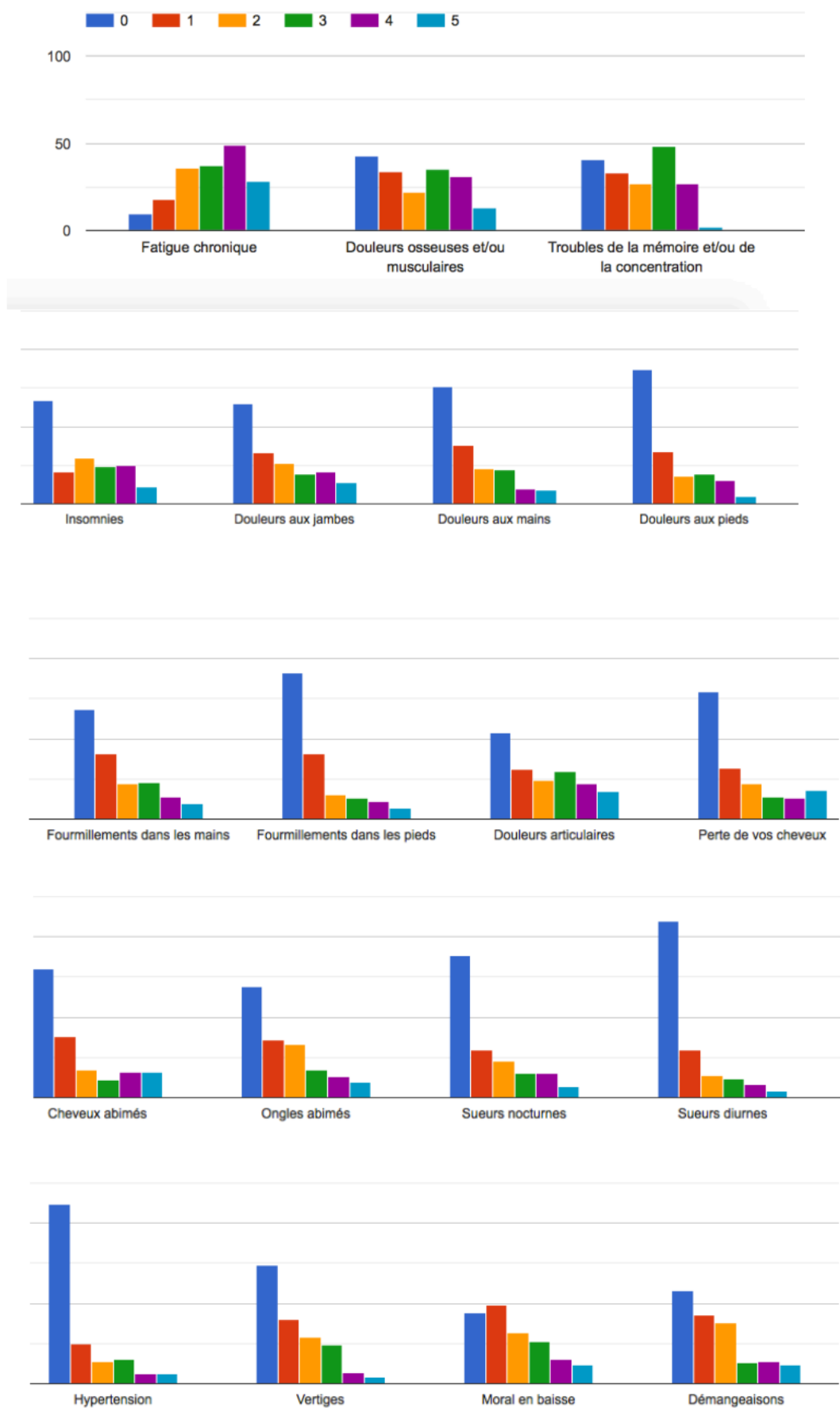
- Fatigue intellectuelle ou physique*
- Activités de la vie quotidienne*
- Mobilité/déplacement*
- Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- Vie professionnelle – Capacité de travail*
- Vie affective*
- Vie sexuelle*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

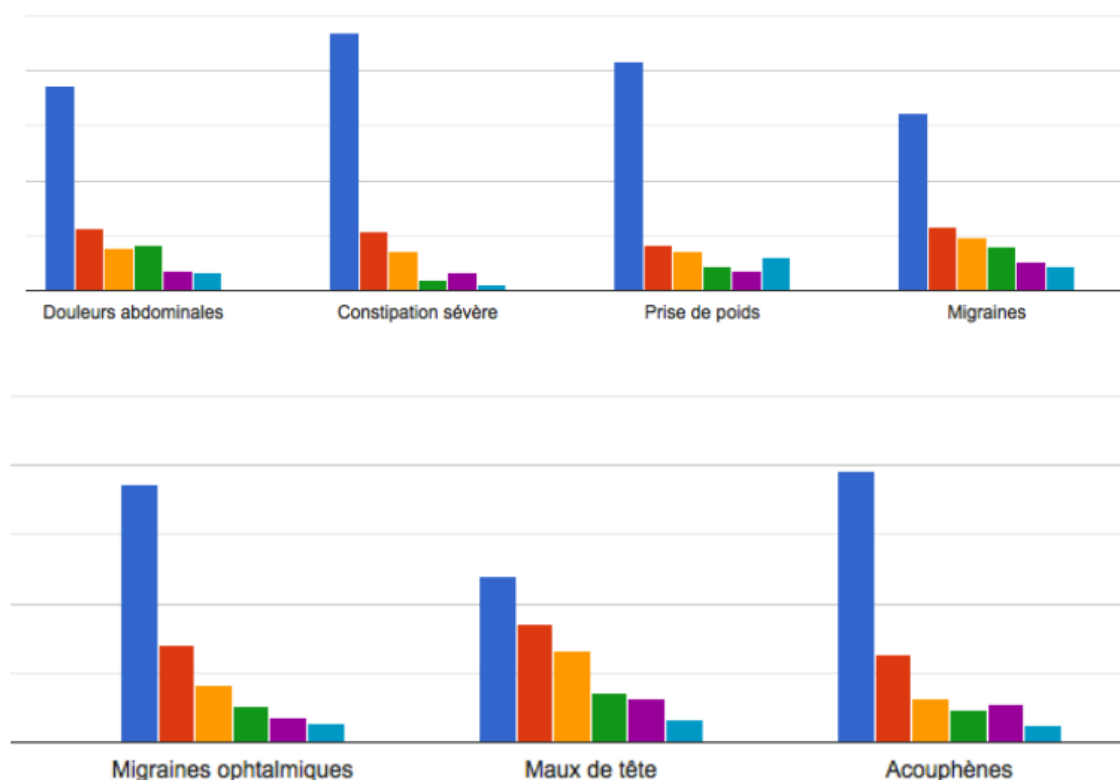
Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

La myélofibrose est une pathologie dans laquelle du tissu fibreux remplace progressivement les cellules souches sanguines dans la moelle osseuse, ce qui provoque la formation de globules rouges de forme anormale, une anémie et une augmentation du volume de la rate.

Les néoplasies myéloprolifératives sont des maladies hématologiques qui affectent la qualité de vie des patients et de leurs proches. L'association a mené en 2021 une étude auprès de ses adhérents à l'aide d'un questionnaire. 178 personnes ont répondu à ce questionnaire (47 hommes / 131 femmes). En voici quelques conclusions pertinentes qui permettent l'évaluation de l'impact de la maladie sur les patients :

Sur les effets de la maladie, à la question : « Merci d'indiquer si vous souffrez de l'un de ses symptômes et son degré (sur une échelle de 0 à 5 sachant que 5 est le maximum) »





Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ **Oui, lesquels ?**

Au-delà de notre questionnaire cité ci-dessus, nous avons répertorié 2 questionnaires accessibles sur notre site internet [Boîte à outils | Vivre avec une NMP](#) qui permettent l'évaluation de la maladie et des ses symptômes (MPN 10 développé par spotlightsonMPN et celui développé par le laboratoire Novartis)

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

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

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.

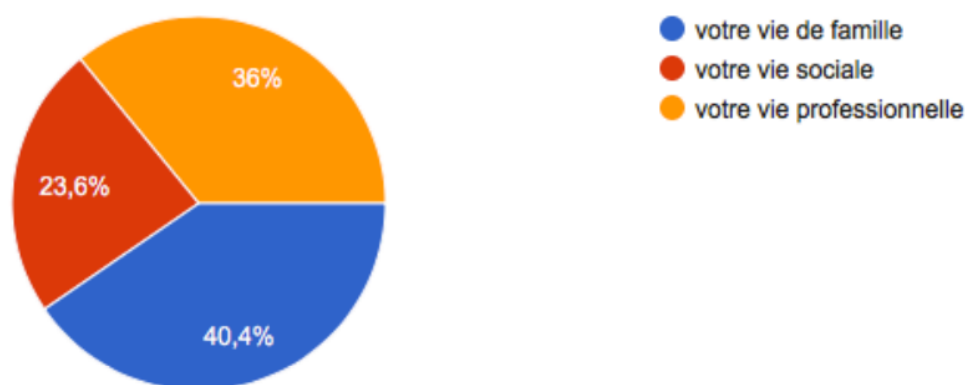
- Fatigue intellectuelle ou physique
- Activités de la vie quotidienne
- Mobilité/déplacement
- Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille
- Vie professionnelle – Capacité de travail
- Vie affective
- Vie sexuelle
- Vie sociale
- Impacts psychologiques
-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

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

Les nombreux symptômes induits par la maladie et apparaissant dans les graphiques ci-dessus, permettent de comprendre aisément l'influence de la maladie sur les proches. Nous avons interrogé notre panel de 178 personnes et voici ci-dessus leur retour :

Votre SMP a-t-il une influence sur :

178 réponses



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.

Le Ruxolitinib

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le Ruxolitinib, est le premier inhibiteur de JAK ayant obtenu une AMM dans le traitement de la myélofibrose. Son efficacité dans la prise en charge des patients atteints de myélofibrose primitive ou secondaire à une polyglobulie de Vaquez ou à une thrombocythémie essentielle, a été établie sur la réduction du volume splénique et sur la symptomatologie qui en découle.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Le ruxolitinib peut entraîner une anémie et une numération plaquettaire basse. En cas d'échec ou d'intolérance au ruxolitinib, aucun traitement de 2ème ligne n'était recommandé dans le traitement de la splénomégalie et des symptômes liés à la myélofibrose. INREBIC (fédratinib) est le 2ème représentant de la classe des inhibiteurs de Janus kinase (JAK) Son efficacité a été établie sur la réduction du volume splénique.

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

En cas d'échec ou d'intolérance au ruxolitinib, aucun traitement de 2ème ligne n'est recommandé dans le traitement de la splénomégalie et des symptômes liés à la myélofibrose.

INREBIC (fédratinib) est le 2ème représentant de la classe des inhibiteurs de Janus kinase (JAK) dans le traitement de la splénomégalie ou des symptômes liés à la maladie chez les patients adultes atteints de myélofibrose ou une thrombocythémie essentielle qui sont naïfs d'inhibiteur de Janus kinase ou qui ont été traités par ruxolitinib.

Son efficacité a été établie sur la réduction du volume splénique à travers les 2 études suivantes :

- l'étude JAKARTA de phase III : il s'agit d'une étude de supériorité (efficacité, tolérance) randomisée en double aveugle, internationale, contrôlée versus placebo dans le traitement des patients atteints de myélofibrose de score IPSS intermédiaire-2 ou élevé et naïfs d'inhibiteur de JAK : INREBIC (fédratinib) s'est montré supérieur au placebo en termes de taux de réponse splénique (RS35% = pourcentage de patients ayant obtenu une réduction d'au moins 35 % du volume de la rate,
- l'étude JAKARTA-2 de phase II : il s'agit d'une étude non randomisée, mono-bras, en ouvert, internationale, ayant évalué l'efficacité et de la tolérance du fédratinib en termes de taux de réponse splénique 35 % (RS35%) dans le traitement des patients atteints de myélofibrose et précédemment traités par ruxolitinib. Selon l'analyse principale, le pourcentage de patients traités par fédratinib 400 mg ayant atteint une RS35 % à la fin du cycle 6 a été de 48,2 % (n = 40/83), IC95% = [37,1 ; 59,4]

En complément, l'étude comparative FREEDOM-2, une étude de phase 3, multicentrique, ouverte et randomisée pour évaluer l'efficacité et l'innocuité du fédratinib par rapport au meilleur traitement disponible (BAT) chez des sujets atteints de myélofibrose primaire (PMF) intermédiaire ou à haut risque DIPSS (Dynamic International Prognostic Scoring System) , myélofibrose post-polycythémie vraie (post-PV MF), ou myélofibrose post-thrombocythémie essentielle (post-ET MF) et préalablement traités par ruxolitinib. L'objectif principal de l'étude est d'évaluer le pourcentage de sujets présentant une réduction du volume de la rate d'au moins 35 % dans les bras fédratinib et BAT.

1.3. Le médicament évalué



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

- *l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
- *la qualité de vie (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives ;*

- la qualité de vie de ses proches ;
- l'usage de ce traitement ;
- le parcours de santé et de vie du patient ;
- autres : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

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

Libellé adéquat / population adéquate _____



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

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

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

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

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

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



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

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

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

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 ?

- Amélioration des symptômes liés à la maladie chez les patients adultes atteints de myélofibrose ou une thrombocythémie essentielle
- Diminution de la taille de la rate (traitement de la splénomégalie)
- Avoir un traitement de 2^{ème} ligne en cas d'échec du ruxolitinib

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

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

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

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

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

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



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

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

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



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

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

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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

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

☐ Oui

☐ Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'utilisateurs lors de l'examen de la demande.

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☐ Non

Pour quelles raisons ?

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 myélofibrose est une pathologie dans laquelle du tissu fibreux remplace progressivement les cellules souches sanguines dans la moelle osseuse, ce qui provoque la formation de globules rouges de forme anormale, une anémie et une augmentation du volume de la rate.

Le Ruxolitinib, est le premier inhibiteur de JAK ayant obtenu une AMM dans le traitement de la myélofibrose. Son efficacité dans la prise en charge des patients atteints de myélofibrose primitive ou secondaire à une polyglobulie de Vaquez ou à une thrombocytémie essentielle, a été établie sur la réduction du volume splénique et sur la symptomatologie qui en découle. En cas d'échec ou d'intolérance au ruxolitinib, aucun traitement de 2ème ligne n'était recommandé dans le traitement de la splénomégalie et des symptômes liés à la myélofibrose. INREBIC (fédratinib) est le 2ème représentant de la classe des inhibiteurs de Janus kinase (JAK) Son efficacité a été établie sur la réduction du volume splénique à travers notamment 2 études JAKARTA de phase III et JAKARTA-2 de phase II

En complément, l'étude comparative FREEDOM-2, une étude de phase 3, multicentrique, ouverte et randomisée pour évaluer l'efficacité et l'innocuité du fedratinib par rapport au meilleur traitement disponible (BAT) chez des sujets atteints de myélofibrose primaire (PMF) intermédiaire ou à haut risque DIPSS (Dynamic International Prognostic Scoring System) , myélofibrose post-polycythémie vraie (post-PV MF), ou myélofibrose post-thrombocytémie essentielle (post-ET MF) et préalablement traités par ruxolitinib. L'objectif principal de l'étude est d'évaluer le pourcentage de sujets présentant une réduction du volume de la rate d'au moins 35 % dans les bras fedratinib et BAT.

C'est pour tous ces éléments que l'association Vivre avec une NMP est extrêmement favorable à la mise à disposition de ce traitement pour les 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.

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 ?

Enquête sur 178 patients (Cf début du document)

Groupe de travail sur les avantages et inconvénients des traitements de la Myélofibrose

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

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

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

Aucune

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

Environ 2h _____

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

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

