
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	7
1. Questionnaire – Partie A	8
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	8
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	8
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	9
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	10
1.3. Le médicament évalué	11
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	11
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	12
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	12
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	12
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	12
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	12
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	13
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	14
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	14
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	15
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	16
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	16
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	18
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	19
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	20
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	21

Introduction

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

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

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

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

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

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

Site internet :

<https://www.glycogenoses.org>

Adresse postale (le cas échéant) :

3 Place Salvador Allende 78 280 Guyancourt.

Bureau, conseil d'administration, adhérents.

Principales activités de votre association ou groupe d'usagers :

Aide, écoute, assistance aux malades et familles de malades. Référents par type de maladie. Soutien financier de travaux concernant les glycogénoses. Participation à des journées d'études et séminaires. Organisation d'actions et d'événements pour soutenir les malades.

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



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 : 62 742 € _____
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 74 623 € _____
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 83 470€ _____
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 60 000 € (provisoire) _____

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2023	Laboratoires pharmaceutiques	34 400 €	41 %
2023	Dons évènements	13 818, 45 €	16,5 %
2023	Adhésions	10 729 €	12,9 %
2023	Dons particuliers	22 393 €	26,9 %
2023	Dons associations	1 200 €	1,43 %

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

NEXVIADYME

Dénomination commune internationale (DCI) :

AVALGLUCOSIDASE ALFA

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

Indication favorable et vivement souhaitée pour le renouvellement de l'accès précoce.

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.

☐ **Pour une demande d'autorisation d'accès précoce (renouvellement)**

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 ?

Des problèmes sévères de motricité (allant du besoin d'aides techniques à la tétraplégie), une perte importante de force musculaire, atteinte respiratoire nécessitant la plupart du temps une aide à la respiration (ventilation non invasive, trachéotomie) fatigue excessive empêchant de réaliser un grand nombre d'activités de la vie quotidienne, comme préparer ses repas ou prendre ses repas seuls (manque de motricité, fausses routes). Hygiène souvent non autonome. Impact important sur la scolarité à tous les niveaux. Vie professionnelle compromise, la plupart du temps impossibilité de maintenir le même rythme de travail, progression très difficile compte tenu des obligations médicales et des absences liées à l'état de santé. Vie affective et familiale rendue très difficile par l'arrivée dans le foyer d'une maladie fatale, avec un retentissement psychologique très lourd sur toute la famille. Vie sociale très diminuée en raison du manque de force pour sortir et de l'abandon fréquent de l'activité professionnelle. Vie sexuelle difficilement maintenue, souvent abandonnée, entre autres causes causant une séparation du couple. Douleurs musculaires, osseuses, neurologiques. Problèmes quasi-systématiques d'élimination. Problèmes de neuropathies associées, buccales. Déchaussement des dents, manque de gencives. Perte de revenus liés à la sortie ou la diminution de l'activité professionnelle.

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 ?

☐ **Oui, lesquels ?**

En cours d'élaboration par la société A+A, à laquelle l'AFG et ses adhérents-patients ont participé.

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 ?

Ils sont très violents à tous les niveaux pour toute la famille. La gravité de la maladie implique un climat très lourd pour tous les membres du foyer, et notamment le conjoint. Séparations fréquentes. Isolement fréquent des familles.

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.

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.

Rééducation musculaire et respiratoire, soutien psychologique, orthophonie, ORL, pneumologue avec la nécessité d'aide respiratoire, nécessité de suivi cardiologique en raison des troubles de la conduction, des anévrismes, et des hypertrophies. TES (avec 3 produits différents).

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Ralentir la rapidité de la dégradation d'une maladie dégénérative, et ainsi prolonger l'espérance de vie.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Ce n'est pas vraiment un inconvénient, il faut se libérer un jour deux fois par mois pour l'enzymothérapie.

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

Les réponses sont variables selon les individus dont l'espérance de vie moyenne a cependant progressé depuis l'introduction de l'enzymothérapie selon les dires des médecins eux-mêmes.

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.

Le libellé est adéquat, les patients concernés sont inclus, d'autres patients n'ont pas de raison de l'être.



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.

Après avoir recueilli les témoignages des patients sous enzymothérapie, j'ai pu constater que l'on rapporte moins d'effets indésirables avec le Nexviadyme qu'avec le Myozyme.

Les résultats des études montrent une efficacité supérieure du Nexviadyme par rapport au Myozyme.

Des témoignages confirment également que la maladie a évolué moins rapidement sous Nexviadyme que sous Myozyme.

Le mode d'administration est similaire.

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 ?

En qualité de bénéficiaire du traitement, et de référent en France pour la maladie de Pompe en contact avec un grand nombre de patients, il n'y a à ma connaissance aucun inconvénient de ce médicament par rapport au Myozyme et au Pombiliti + Opfolda.

En particulier, moins d'effets secondaires ou de réactions allergiques concernant le Nexviadyme par rapport au Myozyme (j'ai connaissance directe de cas gravissimes avec le Myozyme).

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

J'ai (et nous les malades avons) une très grande crainte qu'il soit imposé aux patients de recevoir leur perfusion à domicile, plutôt que de continuer à en bénéficier à l'hôpital si tel est leur souhait. En effet, pour presque tous les malades avec lesquels je suis en contact, la préférence pour le maintien à l'hôpital est grandement souhaitée. Elle permet un déroulement optimal dans l'organisation de la perfusion. Elle permet de maintenir le contact humain et social avec l'équipe paramédicale, ainsi que la possibilité de voir un médecin lors de chaque perfusion. Elle permet aussi souvent d'être en présence d'autres malades de Pompe, d'échanger sur des sujets importants. Pour la sécurité, en cas d'évènement indésirable, le maintien à l'hôpital permet une intervention immédiate, ce qui n'est évidemment pas le cas si la perfusion a lieu à domicile. La durée de la perfusion à domicile est nécessairement allongée car l'intervenant ne peut pas rester avec le malade, poursuit sa tournée, et ne peut pas revenir instantanément au domicile du malade en cas de problème. Au niveau psychologique, recevoir les perfusions à domicile amène l'hôpital à la maison selon les témoignages et plaintes que j'ai recueillis, il faut stocker le matériel médical ; ce qui est particulièrement difficile psychologiquement lorsqu'il y a des enfants, souvent jeunes, qui vivent avec le parent malade ; ceci est souvent mal vécu y compris par les adultes dont le conjoint.

Aucune crainte concernant ce médicament n'est à relever chez les patients, y compris par rapport aux traitements actuels. J'ai même au contraire relevé que les patients étaient plutôt demandeurs et rassurés quant à la possibilité de bénéficier du Nexviadyme.

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 ?

L'étude de l'histoire naturelle de la maladie montre que la maladie de Pompe est fatale et raccourcit l'espérance de vie. Nombre de personnes à travers le monde sont trachéotomisés, sur fauteuil, même tétraplégiques, et incapables de s'occuper d'eux-mêmes sans aide. L'impact psychologique est souvent dévastateur.

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

Les médecins rapportent régulièrement qu'assez souvent, le Myozyme perd de son efficacité avec le temps, encore que cela ne soit pas avéré chez tous les patients. Les résultats du test de marche sur 6 minutes et des explorations fonctionnelles respiratoires montrent sans équivoque, même si selon les critères retenus par les autorités de santé cela n'est pas « significatif ». En qualité hélas de malade, je peux vous garantir que même si un médicament permet « seulement » la stabilisation d'une maladie aussi grave, c'est déjà formidable et un grand succès. Alors si en plus, il y a une amélioration (même si selon les critères retenus par les autorités de santé, elle n'est pas suffisante), c'est dire que la notation du Nexviadyme au regard du service rendu est du point de vue des malades (qui sont bien entendu les premiers concernés), excessivement sévère et ne correspond pas à la réalité du vécu des malades.

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).*

Les résultats des études ainsi que le vécu et le ressenti des malades militent incontestablement en faveur du passage à cette enzymothérapie de seconde génération.

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*

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

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 ?

Présence d'effets indésirables. Ressenti de la fatigue. Temps de marche dans la vie de tous les jours. Ressenti de l'essoufflement. Présence ou non de fausses routes. Présence ou non de troubles de la déglutition. Ressenti de la force musculaire. Troubles ou non des fonctions d'élimination.

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. ?)

Toutes les solutions mentionnées sont satisfaisantes et peuvent être complémentaires.

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 connais-

sances 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.

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

☐ Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

³ 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

Pour quelles raisons ?

Le témoignage des malades me semble primordial. En qualité de référent Pompe au sein de l'AFG, et membre du conseil d'administration de l'IPA, je peux témoigner de ce que j'ai pu voir et entendre notamment au sujet du Nexviadyme à travers le monde.

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 maladie de Pompe est fatale et abrège l'espérance de vie. Les résultats de études montrent une efficacité supérieure du Nexviadyme sur le Myozyme. Ce « simple » constat devrait se suffire à lui-même. On ne peut pas dire aux patients que le service rendu n'est pas suffisant alors que le produit en question permet de mieux préserver les capacités vitales des malades. Comme dit précédent, nous trouvons la notation excessivement sévère, et demandons la généralisation du passage sous Nexviadyme, et le choix pour le patient de bénéficier du TES à l'hôpital ou à domicile, et non obligatoirement à domicile. Nombre de médecins avec lesquels j'ai échangé à ce sujet, si ce n'est tous, sont pour la préservation de ce choix.

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 ?

L'empirisme, les rencontres réelles ou virtuelles, et les témoignages écrits ou oraux. La lecture de nombreux articles concernant la pathologie.

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

Cf. réponse précédente.

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

Moi-même

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 ?

Un peu plus de 7 heures.

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

Rarement, certains éléments de vocabulaire (par exemple, « indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce).

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

