
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'utilisateurs

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Validé par la CEESP et la CT les 8 et 9 nov. 22

Mise à jour mars 2024

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	7
1. Questionnaire – Partie A	8
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	8
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	8
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	17
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	18
1.3. Le médicament évalué	21
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	21
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	22
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	22
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	22
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	22
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	22
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	23
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	24
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	24
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	27
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	27
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	28
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	30
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	31
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	32
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	33

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.

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Hypoparathyroïdisme France (HPTH FR)

Site internet :

Hypopara.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

16 Chemin de Beaulieu 74940 ANNECY

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).

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 : 6214.24 Euros
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 6256.60 Euros
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 6945 Euros
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 1440 Euros

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2024	Adhérents	1440	100%
2023	Adhérents	1530	24,45 %
2023	Amolyt Pharma	5000	71,99 %
2023	Dons	395	5,68%
2023	Vente supports communication	20	0,29%
2022	Adhérents	605	9,67 %
2022	Amolyt Pharma	5071,60	81,06%
2022	Dons	580	9,27%
2021	Adhérents	420	6,25%
2021	Amolyt Pharma	5000	74,46 %
2021	Dons	794,94	11,83%

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

YORVIPATH

Dénomination commune internationale (DCI) :

Palopegteriparatide

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

Traitement hormonal substitutif utilisé pour le traitement de l'hypoparathyroïdie chronique chez l'adulte

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 ?

Thème	Evaluation	Détails
Fatigue physique pathologique	5/5	Fatigue chronique et périodes d'épuisement Besoin fréquent de siestes ou pauses
Fatigue intellectuelle	4/5	Brouillard cérébral, trouble de la concentration, trouble de la mémoire
Charge mentale	4/5	Commune à tous les patients : gestion des prises médicamenteuses à heures précises tout en respectant les interactions entre médicaments (Calcium à 2h de distance de la L-thyroxine) Programmation du suivi médical Gestion alourdie en cas d'injections ou pompe à diffusion continue Alimentation incluant des sources de calcium régulières et pauvre en sel

Décompensation aiguë	5/5	Crises violentes de tétanie imprévisibles nécessitant une prise en charge en urgence Diagnostic d'hypocalcémie posé tardivement par méconnaissance de la maladie Risque de laryngospasmes et/ou décompensation cardiaque Syndrome de stress post traumatique
Suivi	3/5	Prise de sang au minimum tous les 3 mois, recueil des urines des 24h au minimum tous les 6 mois, échographie rénale une fois par an, ophtalmologue une fois par an En cas d'événement aigu ou de complications, contrôles répétés Complexité d'accès aux médecins spécialistes (maladie rare, centres de référence OSCAR)
Activités de la vie quotidienne	3/5	Tâches ménagères, entretien et gestion du logement, vie parentale, vie familiale
Activités de loisirs	3/5	Activités sportives, voyages compromis ou incertains
Douleurs	3/5	Variables selon les patients mais pouvant être invalidantes (musculaires, articulaires, ... cf tableau des symptômes ci-dessous)
Vie sociale	4/5	Anticipation des sorties Activités sociales annulées au dernier moment
Mobilité/déplacement	4/5	Limité du fait de la fatigabilité / douleur
Vie affective	3/5	Peut être compromise du fait de la gestion de ses émotions, de crises d'angoisses, d'épisodes dépressifs
Vie sexuelle	3/5	Perturbée du fait de la fatigue, des douleurs et des crampes Baisse de libido, majorée par la prise fréquente d'antidépresseurs
Vie professionnelle et capacité de travail	5/5	Altérée du fait de la fatigabilité et de l'impact sur les fonctions intellectuelles (troubles de la mémoire, concentration, incapacité de réaliser plusieurs tâches à la fois ou des tâches complexes)
Impacts psychologiques	3/5	Anxiété, angoisse, dépression sont très fréquents Sentiment d'être incompris ou d'être mal compris Fardeau du traitement et des suivis médicaux
Aspects financiers	4/5	Impacté car diminution de la capacité de travail Reste à charge conséquent du fait des médicaments non remboursés (magnésium, eau PPI en cas de pompe)
Autres aspects	5/5	Maladie invisible, sous-évaluée, souvent réduite à une hypocalcémie et non à un déficit en hormone parathyroïdienne Maladie imprévisible par ses fluctuations selon les périodes Impossible de gérer et d'anticiper ; on ne peut pas se reposer la veille pour être en forme le lendemain

Nous précisons que chaque cas étant singulier, l'hypoparathyroïdie couvre tout ou partie des impacts listés ci-dessus. Des formes plus ou moins sévères sont possibles et tous les patients n'ont pas la même intensité de symptômes.

Le retentissement sur la qualité de vie est néanmoins majeur avec des formes d'hypoparathyroïdie requérant des traitements intraveineux, des passages répétés dans les structures d'urgence et une invalidité.

Pour illustrer nos propos, voici des extraits de messages issus de notre groupe privé d'échanges.

« J'ai repris le travail et là, c'est la cata... je me rendais bien compte que j'avais de gros soucis de concentration et de vigilance mais là au travail c'est encore plus flagrant... »

Le moindre bruit, la moindre sollicitation me fait complètement perdre le fil et c'est hyper difficile. Ça m'épuise cognitivement, et ça m'angoisse beaucoup car je me rends compte que je ne peux plus compter sur moi.

C'est le cas aussi dans ma vie quotidienne, je suis incapable de faire 2 choses en même temps, même des choses aussi simples que téléphoner en cuisinant par exemple... »

« Pas plus tard qu'hier je me disais que j'avais probablement trouvé une stabilité au niveau calcémie....et tout d'un coup.. badadoum....en 5 mn je me sens mal + main d'accoucheur + bouche en museau de tanche et tout le reste... au moins j'ai ravi mes collègues en faisant débarquer les pompiers au travailelles m'ont dit que j'étais trop forte pour ça.

Je tiens bon et continue à vivre bien sûr mais ça me mine moralement d'avoir l'impression d'avoir un corps de 80 ans à 42 ans. Marcher, monter et descendre les escaliers, écrire un message comme celui ci et je crampe dans les mains, tout est difficile ... »

« Je conduis quand je me sens bien uniquement. Si je me sens très fatiguée, je ne prends pas le volant, j'ai trop peur de refaire une crise de tétanie. C'est archi pénible car je suis obligée d'annuler des rendez-vous, parfois au dernier moment. »

« Je suis aussi en arrêt de travail. Des tendinites dans chaque bras, des douleurs dans les articulations, la mémoire et concentration très difficile.

L'après-midi je suis obligée de dormir minimum 1h sinon impossible de tenir jusqu'au soir. Je suis assistante maternelle. Je vais faire un bilan de compétence en septembre car il m'est impossible de reprendre mon travail que j'aimais tant 😞 »

« Moi idem, monotâche, intellectuellement c'est compliqué, je n'ai plus l'excellente mémoire que j'avais avant, j'ai 42 ans, et physiquement très vite épuisée... »

« J'ai des journées correctes et des journées difficiles. Ce que je sais c'est que l'activité physique ou intellectuelle intense ne me réussit pas sur le long terme. Si je fais un gros effort je ne peux pas en enchaîner un deuxième au risque de devoir rester couchée un moment pas la suite... après un effort je sais que je dois me reposer même si la fatigue n'est pas là immédiatement.

C'est ce qui est très compliqué dans cette maladie. On a parfois des effets plusieurs heures après l'effort, il faut apprendre à se ménager même quand on est en forme... l'inverse total de ce que je suis à la base... très sportive et toujours en activité... j'ai dû revoir complètement ma manière de fonctionner. »

« J'aimerais connaître vos retours sur la maladie et l'entourage ?

Je suis maman d'un petit garçon de 3 ans a la maison les relations avec le conjoint sont assez compliqués... manque de compréhension dans la vie de tous les jours etc. »

« J'aimerais aborder, en privée ou ici, la délicate question de notre vie sociale, professionnelle et financière.

Pour ma part, aujourd'hui j'ai une vie professionnelle à temps plein. Je suis cadre et je fais beaucoup d'heure. Je gagne bien ma vie.

Je vois bien que cela ne va pas durer. Depuis mon opération je lutte !

Je travail la journée et tous les soirs je suis couchée entre 20h30 et 21h sinon je sais que je n'encaisserais pas le choque du lendemain. Bye bye la vie sociale.

Et mes we... et bien j'en ai pratiquement pas !

Quand je suis en forme, je me « dépêche » de faire linge, ménage, courses pour ne pas me retrouver dans un capharnaüm sans nom.

Cela se produit parfois, inévitablement, et je suis contrainte de faire appel à ma mère (73 ans) pour lui demander de l'aide car je vis seule. Ce qui est bien évidemment pas acceptable pour moi.

Mes meilleurs we, j'arrive à voir mes amis 3h ou 4h voir 5h mais c'est le maximum. Et si c'est le soir. Je dois au moins dormir l'après-midi entière avant pour espérer profiter d'un repas.

Et vous ? Comment faites-vous ? Je n'étais pas une fêtarde mais là... c'est proche du néant.

Je pensais voir pour baisser mon temps de travail. Mais la perte de salaire peut me mettre à moyen terme dans une situation difficile. J'ai bien entendu un crédit immobilier que j'assume seule. Et maintenant que je vous ai lu, j'ai bien compris que la maladie, avec les connaissances, actuelles, n'allait pas s'améliorer. Je m'ajoute donc ce stress de savoir que je dois consolider mon avenir financier de demain. Mais comment faire ? »

La liste des symptômes les plus fréquents par les patients est recensée dans l'étude PARADOX :

Etude disponible en ligne sous condition d'accès : <https://doi.org/10.4158/EP13328.OR>

SYMPTÔMES PHYSIQUES 25		SYMPTÔMES COGNITIFS 7	SYMPTÔMES ÉMOTIONNELS 6
1. Fatigue 82%	14. Nausée 30%	1. Léthargie mentale, confusion 72%	1. Anxiété / crainte / agitation intérieure 59%
2. Douleur / crampe musculaire 78%	15. Problèmes dentaires 29%	2. Difficulté de concentration 65%	2. Se sentir triste, déprimé 53%
3. Engourdissement 76%	16. Neuropathie 27%	3. Perte de mémoire, distraction 61.5%	3. Sensibilité émotionnelle 47%
4. Tétanie 70%	17. Sensibilité au soleil 26%	4. Sommeil perturbé 57%	4. Se sentir mal compris, non compris 44%
5. Douleur aux os 67%	18. Œdème 23%	5. Incapacité à réfléchir lors d'une tâche complexe 41%	5. Hyper irritabilité, hyper Critique 36%
6. Douleur, lourdeur, faiblesse aux extrémités 53%	19. Problème respiratoire 22.5%	6. Incapacité face à une Multitâches 40%	6. Retrait social, isolement 32%
7. Constipation 46%	20. Hypercalcémie 18%	7. Délire 5%	
8. Ongles cassants 44%	21. Néphrocalcinose 17%		
9. Intolérance à la chaleur 44%	22. Insuffisance rénale chronique 13%		
10. Maux de tête 42%	23. Cataracte 13%		
11. Dommages à la peau / peau très sèche 40%	24. Perte d'audition 11.5%		
12. Sensations de froid 37%	25. Calcification des tissus Mous 11%		
13. Perte de cheveux 33%			

Tableau 2 Symptômes ressentis par les patients depuis les 12 derniers mois. Les patients ont sélectionné les symptômes à partir d'une liste de symptômes physiques, cognitifs et émotionnels ressentis malgré la prise de médicament. Le surlignage indique les symptômes ressentis par plus de 50% des patients.

Pour illustrer nos symptômes, nous avons interrogé nos membres (réponse de 88 personnes) sur leurs deux symptômes les plus prégnants et les avons intégrés dans ce nuage de mots :



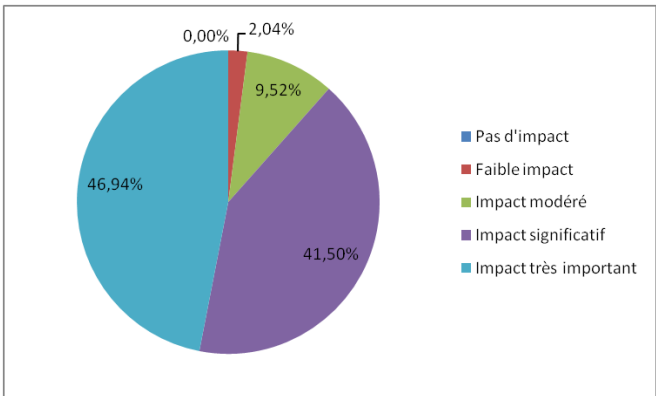
Nous avons également sollicité les membres adhérents à l'association ainsi que les membres du groupe privé Facebook pour répondre à un **sondage sur le retentissement de la maladie dans leur vie**.

Le sondage a été ouvert pendant 10 jours du 8 juin au 18 juin 2024. 147 patients ont répondu.

Réponses du sondage patients sur le retentissement de la maladie dans leur vie

Section 1 – Vie personnelle

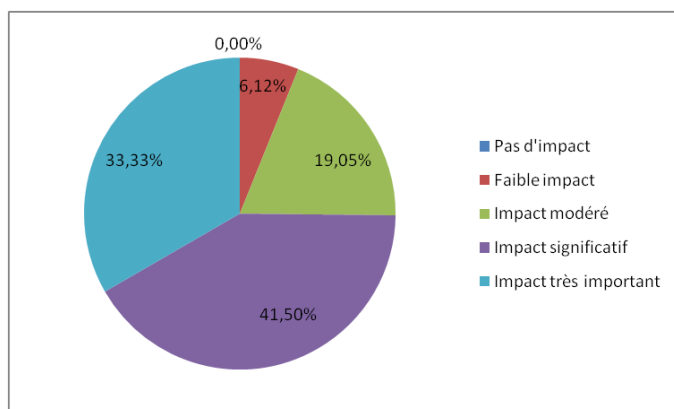
Question 1 – Comment évaluez-vous l'impact de l'hypoparathyroïdie sur votre vie personnelle ?



Réponse	Nombre	Pourcentage
Pas d'impact	0	0,00%
Faible impact	3	2,04%
Impact modéré	14	9,52%
Impact significatif	61	41,50%
Impact très important	69	46,94%

88% des sondés considèrent que l'hypoparathyroïdie a un impact significatif ou très important sur leur vie personnelle.

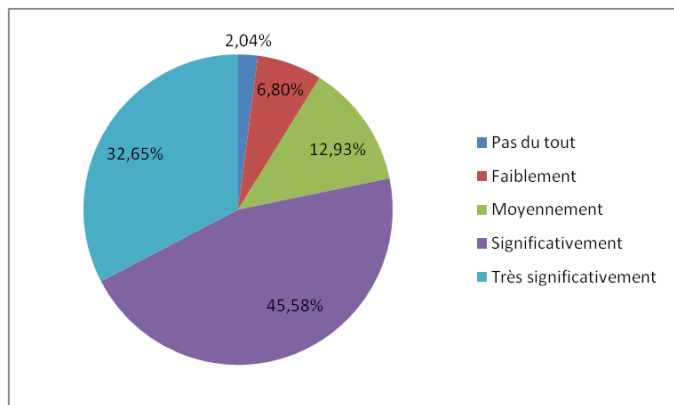
Question 2 – À quelle fréquence avez-vous besoin de prendre des pauses ou de vous reposer pendant la journée en raison de vos symptômes ?



Réponse	Nombre	Pourcentage
Pas d'impact	0	0,00%
Faible impact	9	6,12%
Impact modéré	28	19,05%
Impact significatif	61	41,50%
Impact très important	49	33,33%

74% des sondés ont besoin de faire souvent ou très souvent des pauses dans leur journée en raison de leurs symptômes.

Question 3 – Comment l'hypoparathyroïdie affecte-t-elle votre capacité à gérer votre quotidien (entretien du logement, repas, administratif, activités parentales, etc.) ?

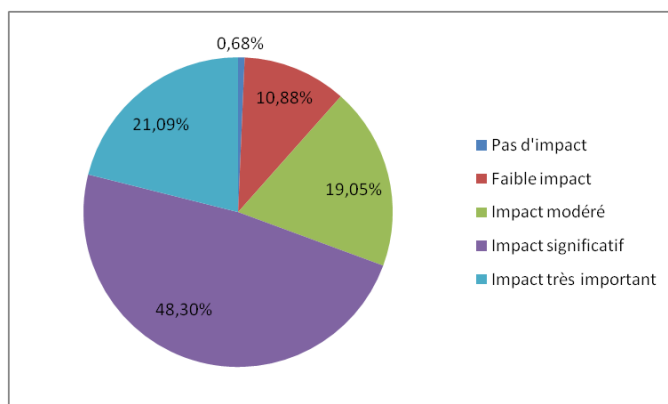


Réponse	Nombre	Pourcentage
Pas du tout	3	2,04%
Faiblement	10	6,80%
Moyennement	19	12,93%
Significativement	67	45,58%
Très significativement	48	32,65%

78% des sondés sont affectés significativement ou très significativement dans leur capacité à gérer leurs tâches de la vie courante.

Section 2 – Vie sociale

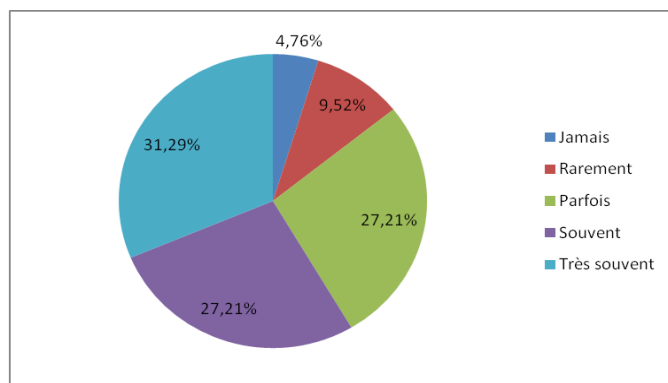
Question 4 – Comment évaluez-vous l'impact de l'hypoparathyroïdie sur votre vie sociale ?



Réponse	Nombre	Pourcentage
Pas d'impact	1	0,68%
Faible impact	16	10,88%
Impact modéré	28	19,05%
Impact significatif	71	48,30%
Impact très important	31	21,09%

69% des sondés considèrent que l'hypoparathyroïdie a un impact significatif ou très important sur leur vie sociale.

Question 5 – Avez-vous dû annuler ou renoncer à des activités sociales en raison de vos symptômes ces 6 derniers mois ?

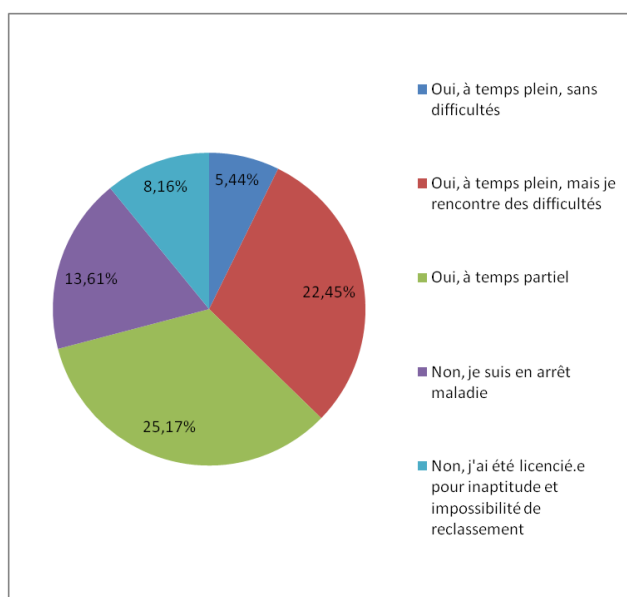


Réponse	Nombre	Pourcentage
Jamais	7	4,76%
Rarement	14	9,52%
Parfois	40	27,21%
Souvent	40	27,21%
Très souvent	46	31,29%

58% des sondés ont dû annuler ou renoncer à des activités sociales en raison de leurs symptômes ces 6 derniers mois.

Section 3 – Vie professionnelle

Question 6 – Travaillez-vous actuellement ?

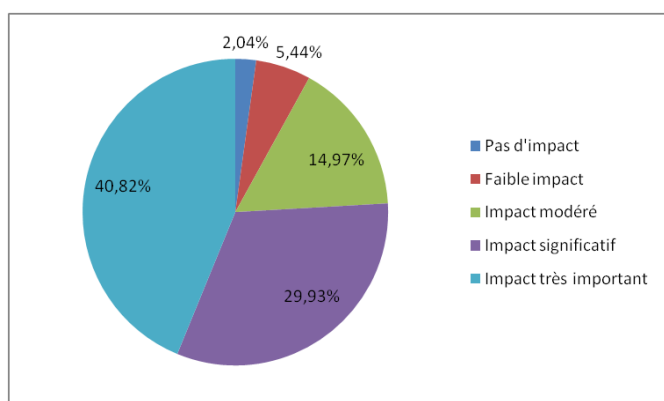


Réponse	Nombre	Pourcentage
Oui, à temps plein, sans difficultés	8	5,44%
Oui, à temps plein, mais je rencontre des difficultés	33	22,45%
Oui, à temps partiel	37	25,17%
Non, je suis en arrêt maladie	20	13,61%
Non, j'ai été licencié.e pour inaptitude et impossibilité de reclassement	12	8,16%
Non, je suis à la retraite ou sans emploi	37	25,17%

Seul 6% des sondés travaillent à temps plein sans difficulté.

94% des sondés sont impactés dans leur vie professionnelle.

Question 7 – Comment évaluez-vous l'impact de l'hypoparathyroïdie sur votre capacité à travailler ?



Réponse	Nombre	Pourcentage
Pas d'impact	3	2,04%
Faible impact	8	5,44%
Impact modéré	22	14,97%
Impact significatif	44	29,93%
Impact très important	60	40,82%
Non concerné	10	6,80%

71% des sondés considèrent que l'hypoparathyroïdie a un impact significatif ou très important sur leur capacité à travailler.

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 ?

- Questionnaire HPQ-28 : Une étude sur la qualité de vie des malades a débuté le 1er juin 2023 via la plateforme Compare (compare.aphp.fr). Les questionnaires ont été traduits en français pour valider une échelle dans notre langue.
- Questionnaire SF-36
- Des questionnaires courts et validés semblent adaptés pour cette maladie :
 - Questionnaire EQ-5D-3L
 - Questionnaire FAS (Fatigue Assessment Scale)

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*

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.

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

Thème	Evaluation	Détails
Fatigue physique	5/5	Demande d'aide au quotidien (charge sur les aidants) Limitation ou impossibilité ponctuelle de loisirs ou d'activités sportives en couple/ famille Besoin d'aide partielle pour les tâches ménagères/courses du fait d'une moindre résistance physique et fatigabilité
Fatigue intellectuelle	4/5	Oublis fréquents / Charge mentale supplémentaire pour l'aidant
Déplacements	4/5	Besoin d'aide pour les déplacements du fait de la fatigabilité
Vie professionnelle de l'aidant	2/5	Impact de la vie professionnelle de l'aidant : accompagner à des rdv médicaux en journée, impossibilité de s'absenter sur des déplacements professionnels
Vie affective	2/5	Modifiée car les symptômes favorisent une sorte d'enfermement du fait des symptômes dépressifs et de l'anxiété
Vie sexuelle	3/5	Altérée par la fatigue et la diminution de la libido (majorée par la prise fréquente d'antidépresseurs)
Vie sociale	4/5	Amputée pour l'aidant aussi car doit accompagner son proche dans son quotidien et n'a pas la même disponibilité physique et psychique
Impact psychologique	3/5	Sur l'aidant car le quotidien est difficilement prévisible car les symptômes sont très fluctuants Hypervigilance, traumatisme face à l'apparition d'une crise de tétanie soudaine
Aspects financiers	4/5	Ressources amputées par arrêt de travail, temps partiel ou invalidité Charge accrue sur l'aidant car ressources familiales souvent amputées du fait des ruptures dans le monde du travail Charges supplémentaires dû au reste à charge (médicaments non remboursés, franchises) Coûts possibles pour aide ménagère

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)



Les informations demandées ici sont importantes pour la Commission de la transparence car elle évalue les nouveaux produits comparativement aux options thérapeutiques déjà disponibles. Les avis en vue du remboursement comportent notamment une gradation du progrès thérapeutique apporté par un nouveau médicament au regard des traitements actuellement disponibles ou de la prise en charge habituelle.

C'est ce que l'on appelle « l'Amélioration du Service Médical Rendu » (ASMR). L'ASMR comporte cinq niveaux allant de « absente » (ASMR V) à « majeure » (ASMR I).



Merci de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le produit évalué (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.).

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement, etc...).

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Les médicaments utilisés dans l'indication mentionnée sont l'alfacalcidol et le calcitriol, des suppléments calciques, du magnésium, de la vitamine D native et des diurétiques.

Une fraction de patients bénéficie d'un traitement de seconde ligne hors AMM mais préconisé dans le PNDs qui est le téraparatide.

Hors médicamenteux, les autres traitements sont :

- Séances de kinésithérapie,
- Séances d'activité physique adaptée,
- Soins dentaires,
- Pompes (hors AMM),
- Soutien psychologique.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le calcitriol et alfacalcidol sont des traitements à prendre quotidiennement par voie orale et peu coûteux.

Le téraparatide permet aux patients d'améliorer leur qualité de vie, de diminuer la calciurie et d'augmenter la calcémie.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

- En AMM

Le calcitriol et alfacacidol permettent rarement une stabilisation de la calcémie, ni une disparition des symptômes, en plus de favoriser une excrétion rénale de calcium excessive (risque de calculs rénaux ou néphrocalcinose). Ils ne compensent pas le défaut de sécrétion de PTH qui a ses conséquences propres en plus de l'hypocalcémie.

Ils sont régulièrement en rupture de stocks dans les pharmacies.

Ils ne préservent pas des crises de tétanie ponctuelles ou d'épisodes d'hypocalcémie aiguë.

- Hors AMM

Le téraparatide s'administre par voie injectable ou en pompe par diffusion continue. Ce médicament doit se conserver entre 2 et 8 degrés, ce qui est une contrainte importante pour les patients.

Il peut occasionner des vertiges importants voire d'importantes douleurs osseuses, des malaises, des nausées. Par ailleurs, il favorise un remodelage osseux important qui peut même exiger une interruption du traitement et le retour à une kyrielle de symptômes.

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

- En AMM

Le calcitriol et l'alfacalcidol ne traitent que **partiellement** une **conséquence de l'hypoparathyroïdie** qui est l'hypocalcémie. Ils ne permettent pas souvent de s'affranchir des prises de calcium médicamenteux. Leur prise augmente souvent la calciurie et expose à un **risque accru de complications rénales**.

Ils ne permettent pas la disparition des symptômes.

Ils ne préservent pas des crises de tétanie ponctuelles ou d'épisodes d'hypocalcémie aiguë.

- Hors AMM

Le téraparatide a une demi-vie très courte et ne préserve pas le patient des fluctuations de la calcémie au cours de la journée. À l'exception des patients sous pompe, les doses doivent souvent être fractionnées en 2, 3 voire 4 injections par jour, soit toutes les 6 ou 8h. Il permet de diminuer les prises de calcium médicamenteux ou de calcitriol ou alfacalcidol mais pas toujours de s'en passer.

Certains patients ne tolèrent pas le teriparatide (réactions allergiques, douleurs osseuses..).

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 de l'indication nous semble adéquat. L'hypoparathyroïdie est due à une déficience en PTH (absente ou présente en quantité insuffisante pour maintenir la calcémie) et actuellement le traitement conventionnel pour lequel il y a une AMM ne traite qu'en partie les symptômes de l'hypocalcémie qui découle d'un défaut de sécrétion de PTH.



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.

Aucune expérience avec le médicament étudié.

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 ?

Aucune expérience avec le médicament étudié.

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

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



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

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

Les principales attentes des patients sont d'avoir un traitement **efficace** qui agisse sur le **déficit en PTH** et pas seulement sur la calcémie, **avec une AMM dans cette pathologie**.

→ Stabilité PTH/calcium (minéraux) dans le temps, pas d'effet « montagnes russes »

Le fait que cette molécule agisse sur 24 h est positif. Une seule injection journalière est nécessaire, ce qui diminue le **fardeau** du traitement, mais aussi les **symptômes** par une meilleure stabilité de la calcémie. Notre expérience nous a appris que ce sont les variations de la calcémie, même minimes, qui occasionnent beaucoup de nos symptômes.

Nous en attendons également qu'il n'ait pas d'effet délétère sur notre capital osseux, ni par une hyper fixation dans notre tissu osseux, qu'il nous préserve des complications notamment rénales, oculaires ou dentaires.

Nous attendons qu'il permette de nous affranchir de la prise d'autres médicaments : alfacalcidol/rocalcitol, suppléments calcium, diurétiques

Nous espérons un effet positif sur la calciurie et une limitation des risques de calculs rénaux et de coliques néphrétiques.

Globalement, nous attendons du traitement qu'il soit efficace, facile à utiliser, sans complication sur le moyen-long terme, qui nous préserve des complications de l'hypoparathyroïdie dans une optique d'amélioration de la qualité de vie du patient.

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 ?

Nos seules craintes concernent d'éventuels effets inconnus sur le long terme, ou de ne pas être à la hauteur de nos attentes. La qualité de vie de certains patients est suffisamment altérée pour qu'il y ait davantage d'espoirs que de craintes dans ce médicament.

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 ?

Selon la définition donnée par la loi portant sur l'égalité des droits et des chances, la participation et la citoyenneté des personnes handicapées constitue « *un handicap, (...), toute limitation d'activité ou restriction de participation à la vie en société subie dans son environnement par une personne en raison d'une altération substantielle, durable ou définitive d'une ou plusieurs fonctions physiques, sensorielles, mentales, cognitives ou psychiques, d'un polyhandicap ou d'un trouble de santé invalidant.* »

L'hypoparathyroïdie correspond à cette définition de part les impacts sur les fonctions suivantes :

Domaine	Impact de l'hypoparathyroïdie	Exemple
Gravité de la Condition Médicale	Limitation de manière significative les capacités physiques ou mentales	Impossibilité de réaliser des tâches complexes, concentration limitée, ...
	Caractère chronique	
	Caractère irréversible	
Impact sur la Capacité de Travail	Retentissement ou limitation de la capacité à effectuer des tâches de travail de manière efficace	Invalidité voire licenciement pour inaptitude
	Adaptations de poste de travail importantes nécessaires	RQTH, aménagements de poste, ...
Durée et évolution de l'Incapacité	Caractère indéfini temporellement	
	Phases de calme ou d'intensification des symptômes	Fluctuations quotidiennes, état général variable sur une journée, une semaine, ...
Impact sur la Vie Quotidienne	Affectation de manière significative des activités quotidiennes	Nécessité de limiter et/ou différer certaines activités
	Altération ou impossibilité à se déplacer	A pied ou en transport
	Altération ou impossibilité à supporter l'effort physique et/ou continu	Douleurs et fatigabilité
	Nécessité d'une aide ou d'une assistance pour les activités de la vie quotidienne	Dû à l'effort physique demandé

L'hypoparathyroïdie est invalidante car elle affecte considérablement la qualité de vie.

Les patients souffrent de nombreux symptômes (d'ordre physique et sur leur santé mentale), comme détaillé au paragraphe 1.1.1. Ils sont également exposés à des complications (calculs rénaux, néphrocalcinose, calcification des tissus mous, cataracte...).

Le traitement de l'hypoparathyroïdie peut être complexe et exige une surveillance médicale étroite par un médecin spécialiste, ce qui complique la prise en charge. Il représente souvent un défi pour trouver un équilibre entre l'amélioration des symptômes et la préservation des complications.

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

Les traitements actuels de l'hypoparathyroïdie impliquent souvent des ajustements fréquents des doses en fonction des symptômes et des résultats de laboratoire. La gestion de ce traitement peut être complexe et exigeante.

Les suppléments de calcium et de vitamine D peuvent entraîner des effets secondaires tels que des calculs rénaux et des calcifications rénales et/ou articulaires. Ces effets secondaires peuvent nécessiter des ajustements de traitement supplémentaires ou des interventions médicales pour les gérer, ce qui peut compliquer la prise en charge de la maladie.

Malgré un traitement bien conduit, les médicaments actuels ne permettent pas d'agir efficacement sur les symptômes.

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).*

Le médicament étudié présente, de notre point de vue, les avantages suivants :

- Il permet de substituer l'hormone manquante, la parathormone ;
- Il devrait permettre de diminuer les symptômes ;
- Il devrait alléger la charge mentale de la gestion du traitement qui devient quotidienne ;
- Il a une durée d'action longue qui permet d'être plus efficace sur 24 h ;
- Il se conserve à température ambiante.
- Il devrait préserver les patients des complications graves notamment rénales.

² 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 ?

1. Symptômes : Les patients peuvent suivre et noter l'évolution de leurs symptômes au fil du temps. Cela inclut des symptômes tels que les crampes musculaires, les spasmes, la fatigue, les troubles de l'humeur. Un tableau rapide avec une intensité de 1 à 5, rempli toutes les semaines nous semble réalisable.

2. Fréquence des hypocalcémies aiguës et des crises de tétanie : Cela peut aider à déterminer si le traitement parvient à réduire la fréquence et l'intensité des crises.
3. Qualité de vie : Des questionnaires standardisés sur la qualité de vie peuvent être utiles pour évaluer objectivement l'impact du traitement.
4. Effets secondaires : Les patients doivent surveiller attentivement les effets secondaires potentiels du traitement et noter leur fréquence et gravité sur un tableau standardisé.
5. Rythme des bilans sanguins : Un espacement témoignant d'une plus grande stabilité des symptômes et de la calcémie.

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. ?)

Les patients pourraient collecter ces informations par écrit, idéalement via une application mobile, avec les observations médicales lors des consultations de suivi pour étudier l'efficacité du traitement.

Ce suivi pourra se faire en collaboration avec les équipes des centres de la Filière OSCAR, désireux d'évaluer également le traitement.

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, 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.

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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

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

Nom – Prénom : NIDERCORN Christelle et BESSONIES Delphine

Adresse mail : christelle.nidercorn@hypopara.fr ; delphine.bessonies@hypopara.fr

Téléphone : 06 80 59 60 84 ; 06 88 15 86 00

Pour quelles raisons ?

Maladie rare (<1/2000), peu connue, incomprise, souvent confondue avec problèmes thyroïdiens alors qu'il s'agit d'un déficit de sécrétion en parathormone.

Nous souhaitons nous assurer que nos écrits ont été compris tel qu'on a souhaité les transmettre.

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 difficulté la plus prégnante de cette maladie est la **gestion des symptômes qui impactent considérablement la qualité de vie du patient.**

Les traitements actuels ont une action limitée sur la stabilité de la biologie, ne permettent pas de réduire efficacement les symptômes et n'évitent pas des complications graves (insuffisance rénale, néphrocalcinose, calculs rénaux, ...). Les patients ont besoin de traitements plus efficaces que les suppléments de calcium et de vitamine D actuels, qui ne parviennent pas toujours à stabiliser les niveaux de calcium.

L'hypoparathyroïdie est la dernière maladie endocrinienne qui n'est pas traitée par une hormone de substitution.

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.

L'hypoparathyroïdie n'est pas qu'un problème de calcium, c'est une déficience en parathormone.

C'est la dernière maladie hormonale qui n'a pas son hormone de synthèse.

D'autre part, à l'inverse des hypocalcémies d'autres origines, **l'hypocalcémie de l'hypoparathyroïdie est souvent symptomatique, avec parfois mise en danger de la vie du patient (tétanie, trouble du rythme cardiaque, spasme laryngé) en cas d'hypocalcémie aiguë, et retentissement important sur la qualité de vie en chronique** du fait de l'association de l'hypocalcémie à une hypoparathyroïdie (manque de parathormone), dont l'effet pléiotropique (rein, cerveau...) pourrait expliquer les symptômes spécifiques typiques de la maladie.

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 téléphoniques, 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 ?

- Echanges et témoignages du groupe privé d'échange Facebook (500 membres) ;
- Résultats de l'étude PARADOX ;
- Sondage des membres (147 participants) ;
- Nuage de mots : sondage (88 nombre participants) ;
- Appels téléphoniques.

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

Non Concerné.

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

Les membres du bureau de l'association :

Natalie GROSSET	Membre fondateur et présidente d'honneur
Delphine BESSONIES	Co-présidente
Christelle NIDERCORN	Co-présidente
Johanne AMARA	Vice-présidente
Nathalie LABÈQUE	Trésorière
Anne-Lise HANNOTAUX	Co-secrétaire
Florence URBAIN	Co-secrétaire

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

Relecture de la contribution réalisée par :

- Alliance Maladies Rares ;
- Les membres du conseil scientifique de l'association.

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

Environ 40h

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

Ce questionnaire nous a demandé un effort intellectuel important du fait des symptômes de la maladie. Il a nécessité de planifier de nombreuses sessions de réflexion et de rédaction, relecture du fait de notre fatigabilité. Certaines sessions ont dû être reportées du fait du brouillard cérébral.

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

