
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

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	3
Médicament sur lequel porte cette contribution	4
1. Questionnaire – Partie A	5
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	5
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	5
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	7
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	8
1.3. Le médicament évalué	9
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	9
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	10
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	10
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	10
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	11
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	11
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	11
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	13
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	13
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	13
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	13
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	14
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	15
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	16
5. Questionnaire – Partie E : Autres remarques	17
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	18

Informations administratives (contact)

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) : Association Française des Hémophiles (AFH)

Site internet : afh.asso.fr

Adresse postale (le cas échéant) : 21 rue Georges Auric, 75019 PARIS

Nature de la structure : Association agréée au niveau national

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

L'AFH est membre de la Fédération Mondiale de l'Hémophilie (FMH), du Consortium Européen de l'Hémophilie (EHC), de l'Alliance Maladies Rares et de France Assos-Santé.

L'AFH travaille main dans la main avec la filière de Santé Maladie Hémorragiques Rares (MHEMO)

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

Fondée en 1955, l'Association française des hémophiles (AFH) s'est donné un rôle d'information, d'entraide et de défense des droits des personnes atteintes d'hémophilie, de la maladie de Willebrand et de troubles hémorragiques rares. L'Association milite pour une amélioration constante des connaissances, des traitements et de la prise en charge des troubles rares de la coagulation. Elle est particulièrement vigilante aux questions de sécurité des traitements. Elle propose un programme de formation sur les enjeux d'éducation thérapeutique du patient et du plaidoyer en santé.

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : ALHEMO

Dénomination commune internationale (DCI) : Concizumab

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue du renouvellement d'autorisation d'accès précoce pré-AMM :

En prophylaxie pour prévenir ou réduire la fréquence des épisodes hémorragiques chez les patients à partir de l'âge de 12 ans :

- *Atteints d'hémophilie A (déficit congénital en facteur VIII) ayant développé des inhibiteurs du FVIII, en dernier recours*
- *Atteints d'hémophilie B (déficit congénital en facteur IX) ayant développé des inhibiteurs du FIX, en dernier recours*

Cette contribution porte sur une évaluation

☐ 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

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

Pour tout patient la qualité de vie avec l'hémophilie se dégrade au cours du temps. L'échelle classique de sévérité en fonction du taux de facteur circulant est en relation avec la vitesse d'apparition des séquelles de la pathologie. L'inhibiteur, lui, vient accélérer l'apparition de ces séquelles.

L'impact sur la qualité de vie des patients varie selon l'âge. Il existe une grande variabilité phénotypique en hémophilie sévère.

Une petite enfance marquée par des traitements lourds

Le diagnostic d'hémophilie A sévère se fait souvent avant l'âge d'un 1 an. Dans un cas sur trois il n'existe pas d'antécédents connus dans la famille.

Entre 1 et 3 ans est mis en place un traitement préventif visant à éviter les saignements nommé prophylaxie. Les accidents hémorragiques (saignement articulaire : hémarthroses et hématomes) sont présents malgré les traitements. La prophylaxie est recommandée pour toute la population pédiatrique. Elle est suivie par 90% de la population pédiatrique. Dans le cas d'apparition d'inhibiteur au traitement conventionnel par facteur VIII ou IX, il est alors mis en place une Induction de Tolérance Immune soit un « bombardement » de facteur quotidiennement pendant des mois pour tenter de détruire l'inhibiteur. Ces traitements sont fastidieux et l'échec est constaté par l'abandon du jeune patient et de sa famille au protocole de soin.

Enjeux psychosociaux dans l'enfance et l'adolescence

L'intégration scolaire est, en principe, normale si elle est préparée. Certains enfants rencontrent des difficultés, notamment des refus de prise en charge liées aux représentations de l'hémophilie par les encadrants : enfants non acceptés en cantine scolaire, en voyage scolaire, aux enseignements d'éducation physique, en club de sport.

Au moment de l'adolescence, la lourdeur du traitement, la remise en question / le déni de la maladie chronique et le regard des autres mènent les adolescents à des relations conflictuelles et à une construction de soi perturbée. C'est à ce moment que certains refusent le suivi médical et la prise de traitements conduisant à un risque pour la santé important.

Adultes : une bataille permanente contre les aléas de santé

La répétition des accidents hémorragiques articulaires ainsi que des micro-saignements invisibles mène à des troubles fonctionnels majeurs dits arthropathies. Vers 30 ans plus de la moitié des patients présentent au moins une atteinte articulaire. Cela se traduit par des douleurs chroniques, des difficultés de marche, une forte consommation d'antalgiques et d'anti-inflammatoires. La pose de prothèse de genou ou de cheville est répandue dans la population hémophile A avant l'âge de 40 ans. Une des raisons de ces atteintes est lié à la mise en place tardive de la prophylaxie lorsqu'ils étaient enfants.

De nombreux patients qui n'ont pas connu d'accidents hémorragiques au cours de l'enfance mais présentent des atteintes articulaires adultes liés à des micro-saignements. Le défi de demain sera de contrôler ces micro-saignements.

Les accidents hémorragiques articulaires sont moins nombreux à l'âge adulte. Ainsi environ 60% des adultes passent en traitement à la demande et abandonne la prophylaxie. Le modèle de soin devient curatif.

Bien que la Reconnaissance en Qualité de Travailleur Handicapé (RQTH) permette le maintien en emploi, la multiplication des arrêts de travail peut mener à une précarisation de l'emploi et des reconversions professionnelles pour une partie des personnes concernées.

Néanmoins, la qualité de vie sous les traitements actuels permet à ces personnes de construire une famille et d'avoir des enfants.

Seniors : des pathologies du vieillissement difficile à prendre en charge

Une grande partie des hémophiles de plus de cinquante ans vivent avec des comorbidités associées : VIH et / ou VHC qui est le plus souvent guéri mais qui laisse des séquelles importantes.

Les atteintes articulaires mènent à des troubles de sédentarité : surpoids, diabète et troubles cardiovasculaires.

Les troubles cardio-vasculaires nécessitant des interventions chirurgicales lourdes. Elles posent un défi pour la régulation de la coagulation durant le temps opératoire et post-opératoire.

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

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

PROBE, Patient Reported Outcomes Burdens and Experiences Study, un ensemble de PRO développé et validé dans le domaine de l'hémophilie www.myprobe.org

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

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

Parents : la difficulté de tout gérer

L'arrivée d'un enfant hémophile dans une fratrie bouleverse les familles. Elle augmente les divorces et entraîne des situations d'échec professionnel des parents. Certains parents préfèrent arrêter leur activité professionnelle pour élever leurs enfants. L'annonce du diagnostic reste un choc malgré la qualité de vie nettement supérieure aujourd'hui des enfants à naître comparativement à il y a 10 ans ou plus.

Une maman d'hémophile A sévère, 5 ans dit : « *Lorsque j'ai appris le diagnostic de mon enfant, le monde autour de moi s'est écroulé. J'ai rapidement compris que nous allions devoir nous battre autant pour ses soins que pour faire reconnaître qu'il peut vivre comme les autres* ».

Adulte : une résilience de l'entourage nécessaire

L'âge adulte s'accompagne, pour un hémophile, de douleurs chroniques articulaires et de périodes inflammatoires exacerbées. La fatigue, les syndromes dépressifs et les divorces sont nombreux.

Un hémophile adulte de 32 ans dit : « *L'hémophilie est une double maladie : enfant, il faut gérer les saignements puis adulte, il faut vivre dans l'intermittence des crises inflammatoires, c'est un long combat* »

Seniors : prendre sur soi les pathologies multiples

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.

Le vieillissement de la population hémophile est récent. Beaucoup doivent découvrir avec leur entourage, une vie hyper-médicalisée. La prise en compte du VIH et du VHC entraîne une multiplication des acteurs de soins.



Un hémophile adulte de 60 ans dit : « *Ma génération a tout traversé. A chaque fois, nous avons essuyé les plâtres. Ma femme est restée, mais c'est au prix de nombreux sacrifices pour nous deux.* »

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

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

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

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

Dans les indications concernées il est à distinguer trois catégories de patients :

- **L'hémophile A avec inhibiteur (HAaI) sous emicizumab.**

Ces patients sont actuellement la très grande majorité de la cohorte d'HAaI.

Deux sous catégories :

- Les enfants ayant bénéficié d'emicizumab dans leur bas âge : le poids de la maladie s'apparente alors à une hémophilie mineure avec des saignements peu fréquents mais difficile à endiguer.
- Les personnes ayant bénéficié d'emicizumab au cours de leur vie : les séquelles générées par l'hémophilie et peu endiguées par les traitements by-passants (NOVOSEVEN / FEIBA), la qualité de vie est fortement dégradée du fait de dommages articulaires irréversibles au niveau des coudes, genoux et chevilles. Néanmoins ces patients témoignent d'une efficacité remarquable de ce traitement et de nouvelles perspectives de vie offertes à eux.

→ L'âge d'indication de 12ans ainsi que la démonstration de l'efficacité d'emicizumab en vie ré, il nous semble qu'aucun patient de cette catégorie n'est concerné par ALHEMO

- **L'hémophilie A avec inhibiteur intolérant à l'emicizumab sous NOVOSEVEN / FEIBA**

Chez quelques patients, des anticorps neutralisants atténue ou font disparaître l'efficacité d'emicizumab. Les protocoles sont peu clairs sur la définition de la perte d'efficacité et sur les traitements à mettre en place à ce moment. Le retour aux traitements préexistant à l'emicizumab par NOVOSEVEN ou FEIBA est vue comme une très forte contrainte de la part des patients. La préparation et l'injection de ces traitements est longue et fastidieuse bloquant les patients. L'efficacité de ces

traitements a toujours été perçu par les patients comme un « pansement sur une jambe de bois ». Ainsi les prophylaxies sont illusoires tant les résultats sont peu encourageants pour les patients

- L'hémophilie B avec inhibiteur, la situation est différente car la seule option thérapeutique envisagée est le NOVOSEVEN.

Le nombre de patient hémophile B avec inhibiteur est très réduit en France (une poignée). Ici les traitements sont basés sur le NOVOSEVEN.

Il est important également de mentionner que les thérapies géniques qui arrivent sur le marché en hémophilie A (ROCTAVIAN et DURVEQTIX) et en hémophilie B (HEMGENIX) ne concernent pas les patients avec inhibiteur.

1.3. Le médicament évalué

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.

« Prévenir ou réduire »

Le libellé est surprenant. Il est écrit « *prévenir ou réduire la fréquence des épisodes hémorragiques* »

Ce libellé sous-entend qu'il existe une différence entre une réduction (il reste des saignements) et une prévention (il n'y a aucun saignement).

Il nous semble sémantiquement faux de dire qu'il existe une différence. « Prévenir » est un objectif et « réduire » est le résultat obtenu.

Les libellés des autres produits utilisés en prophylaxie en hémophilie font mention uniquement de « prévenir ». Cette prévention secondaire est toujours sous-entendue comme « réduire » et non « empêcher tout saignement »

« En dernier recours »

Le périmètre du « dernier recours » a été débattu pendant l'évaluation précédente de ce produit. Il continue de soulever des interrogations.²

Définir objectivement les critères permettant de qualifier l'usage d'emicizumab (hémophilie A) ou du NovoSeven (hémophilie B) comme échec est une tâche ténue.

- Est-ce le nombre de saignement annualisé ? Ce critère utilisé dans les essais cliniques, reflète mal la vie des patients car de nombreuses hémorragies sont infra-sensible et passe sous le radar de l'auto-détection et de conduite à tenir en cas d'hémorragies.
- La douleur chronique est-elle un critère pour le recours à ALHEMO ? Les patients avec inhibiteurs doivent souvent vivre avec des douleurs chroniques articulaires. Ces douleurs sont la conséquence de dégradation ostéoarticulaire du fait de saignements à bas bruits et de saignements objectivés. Ainsi un patient voyant ces atteintes articulaires progressées avec emicizumab ou NovoSeven peut-il être placé sous ALHEMO comme « dernier recours ».
- D'autres critères relatifs à la qualité de vie et soulevés par le patient sont-ils un critère justifiable pour une utilisation en dernier recours tel que les difficultés de la voie d'abord en hémophilie B ? Il nous semble que oui.

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 ?

NA

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 ?

² Haute Autorité de Santé – Commission de la Transparence – ALHEMO Concizumab 06092023 TRANSCRIPTION CT-AP214 p7 et s https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-10/alhemo_concizumab_06092023_transcription_ct-ap214.pdf

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

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

Les thérapeutiques chez les patients avec inhibiteurs visent à améliorer les patients dans leur vie parsemée d'accident hémorragique. En hémophilie B les attentes sont très grandes car le NovoSeven n'est pas un médicament améliorant grandement la qualité de vie. En hémophilie B, les traitements disponibles s'injectent par voie intra-veineuse. L'alternative proposée par ALHEMO en sous-cutané est un soulagement compte tenu de l'utilisation répétée et difficile des abords veineux.

Dans le cadre de l'hémophilie A, l'échec d'un traitement par emicizumab est ressenti comme frustrant compte tenu des résultats spectaculaires chez les autres patients avec inhibiteurs témoignant de vies transformées. Proposer ALHEMO est une solution mais dont le poids d'administration au quotidien est lourd sur le long terme. Ici, il s'agit d'un switch sous-cutané par aiguille-seringue à sous-cutané par stylo-aiguille.

Dans toutes les situations, l'administration par stylo prérempli est une amélioration des modes d'administration. NovoSeven et emicizumab sont fastidieux et nécessitent de nombreuses manipulations pour reconstitution.

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 ?

Sécurité du produit

Les réactions allergiques au site d'injection fréquentes peuvent être un frein à l'utilisation du produit.

De plus, le risque thrombotique lié à l'utilisation d'un anti-frein de la coagulation est un peu « *jouer avec de la dynamite* ». C'est pourquoi son usage doit être accompagné.

L'AFH souligne que les résultats d'essais sont difficiles à interpréter et rend la mise en place d'une décision partagée plus que nécessaire afin d'aider le patient à comprendre les risques.

Endpoint d'essai clinique non lié à la vie réelle

L'essai EXPLORER 7 constitue les données d'essai clinique publiées dans une revue indexée la plus récente. L'endpoint principal de l'EXPLORER 7 était le nombre de saignements traités.³ La notion de saignement traité est peu utilisée en pratique courante et ne correspond pas à l'éducation thérapeutique jusqu'à présent. Le patient doit relater tout saignement constaté, qu'il ait traité ou non par adjonction d'agent by-passant ou pas. Ainsi ce nombre est peu indicatif de la réalité de la vie du patient

Poids de l'administration tous les jours

L'administration quotidienne est un poids considérable pour le patient sur le long cours. A la différence du diabète insulino-dépendant, les patients sous ALHEMO ont tous connu des traitements dont les prises étaient plus espacées. L'adhérence thérapeutique au long cours doit être suivie et accompagnée.

Reconstitution et purge

La reconstitution d'ALHEMO nécessite de connecter une aiguille et de la purger. En d'autres termes une goutte d'ALHEMO sort de l'aiguille et n'est donc pas injectée. Le volume de cette goutte devrait être rapportée au volume par injection et être considérée dans le calcul du prix car non injectée.

L'organisation de soins en hémophilie A.

La délivrance d'emicizumab est possible pour les patients hémophiles A en officine de ville. C'est le seul médicament dans cette situation. Un patient en échec d'emicizumab, retourne à la pharmacie hospitalière lors d'un switch vers ALHEMO ce qui peut peser dans sa décision compte tenu ⁴des difficultés d'accès spatiales et temporelles des pharmacies hospitalières.

³ Matsushita, T., Shapiro, A., Abraham, A., Angchaisuksiri, P., Castaman, G., Cepo, K., d'Oiron, R., et al. (2023). Phase 3 Trial of Conci-
zumab in Hemophilia with Inhibitors. *New England Journal of Medicine*, 389(9), pp. 783-794. Doi :10.1056/NEJMoa2216455.

⁴ Chamouard V, Fraticelli L, Freyssenge J, Claustre C, Négrier C, El Khoury C; PHAREO investigators. PHAREO study: Perceived and
observed accessibility to therapeutic drugs used for treating patients with inherited bleeding disorders. *J Clin Pharm Ther*. 2022
Oct;47(10):1667-1675. doi: 10.1111/jcpt.13718. Epub 2022 Jun 20. PMID: 35726381.

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)

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 ?

Cf 1.1.1 et 1.1.2

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

En hémophilie A, le nombre de patients avec inhibiteur est fréquent. Les échecs d'emicizumab sont rares. Les discussions avec les hémophilologues nous amènent à penser que la clinique ainsi que les attentes du patient priment pour objectiver l'échec bien plus que la détection d'anticorps dirigé contre l'emicizumab.

En hémophilie B, le nombre patients avec inhibiteur est rare. Les échecs avec NovoSeven sont fréquents du fait de la faible efficacité du NovoSeven dans cette indication. Ainsi les choix du patient doivent amener à la discussion sur l'utilisation d'ALHEMO

Dans les deux cas, le nombre de patient, en France, en échec de traitement se compte en unité.

Dans les deux cas, la décision partagée doit être mise en place compte tenu de l'ultra-rareté de la situation et de la nécessité d'aider le patient à peser le pour et le contre sur chaque option.

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

Le mécanisme d'action est unique en son genre.

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

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 ?

Le PUT-RD prévoit bien la situation avec les deux questionnaires qualités de vie.

Le remplissage devrait se faire aux moyens de solutions adaptées à domicile.

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. ?)

Il est nécessaire d'accompagner par des programmes financés spécifiques les phases de recueil de données en vie réelle.

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

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 ?

Seule la version du 1^{er} octroi d'accès précoce pré-AMM a été consultée.

Le contenu du PUT-RD manque d'un document sur l'accompagnement des patients concernant la spécificité de ce traitement.

Un programme d'accompagnement est nécessaire ici compte tenu :

- Du mode d'administration
 - o Injection quotidienne avec ce médicament vs injection plus espacées chez comparateur
 - o Injection par stylo en sous-cutané, sans équivalent
- Du mode d'action du médicament : ici il s'agit d'un inhibiteur du TFPI soit un inhibiteur d'inhibiteur de la coagulation. Il est difficile de comprendre le mécanisme des nouvelles thérapies utilisées dans les hémophilies.
- De la nécessité d'appréhender la situation de « dernier recours » soit une 3eme ligne en hémophilie A et 2eme ligne en hémophilie B

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

X Non : L'AFH estime que ce renouvellement d'accès précoce n'appelle pas de discussion particulière nécessitant une audition

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse

Les hémophilies A et B avec inhibiteurs ont des options thérapeutiques aux résultats différents

L'hémophilie A avec inhibiteur est depuis 2019 transformée par l'arrivée d'emicizumab.

Les thérapeutiques proposées en hémophilie B avec inhibiteur sont peu efficaces.

L'arrivée de concizumab est une option thérapeutique intéressante pour les patients en échecs de traitements. La gestion des effets indésirables graves nécessite

- Un suivi rapproché
- La mise en place d'une décision partagée pour mettre en balance les risques associés
- Un accompagnement pour apprendre à vivre avec ce traitement

L'usage d'un stylo pour les injections est une avancée mais la fréquence d'administration quotidienne engendre un fort poids au quotidien.

L'AFH se réjouit que des solutions se développent dans des situations aux besoins médicaux non couverts ultra rares. Elle rappelle cependant que ces développements ne doivent pas se faire sans une sécurité absolue des produits de santé.

5. Questionnaire – Partie E : Autres remarques

NA

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

Échanges réguliers avec des patients et leurs proches vivant avec un inhibiteur

Échanges avec les professionnels de la filière MHEMO

Participations aux congrès médicaux en hémophilie européen (EAHAD) et mondial (WFH)

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

Seuls quatre patients utilisent ce traitement à ce jour. Il ne nous a pas été possible d'entrer en contact avec eux durant la période d'ouverture de cette contribution.

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

Gaetan Duport, Responsable Groupe Médicament AFH

Carol Betsch, Directrice de l'AFH

Yannick Colle, Présidente de l'AFH

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

Discussion avec les professionnels de santé à la demande de l'AFH.

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

20h

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

La difficulté ici est inhérente à la période estivale rendant les acteurs peu mobilisables.

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

