
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	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	11
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	12
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	16
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	16
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	16
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	17
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	17
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	17
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	17
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	19
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	19
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	20
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	21
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	21
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	23
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	24
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	26
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	27

Introduction

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

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

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

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

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

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



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

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

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

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

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

Note importante

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

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

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

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

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



Il est obligatoire de remplir la rubrique suivante pour que votre questionnaire soit pris en compte. CE VOLET DU QUESTIONNAIRE NE SERA PAS PUBLIE

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) : Association Santé respiratoire France

Site internet : www.sante-respiratoire.com

Adresse postale (le cas échéant) : 115 rue Saint Dominique, 75007 Paris

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☒ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Santé respiratoire France n'est pas une association agréée

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

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

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

4898 adhérents

Nombre de bénévoles :

25

Nombre de salariés :

1

Principales activités de votre association ou groupe d'usagers :

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

Site internet : <https://sante-respiratoire.com/>

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

- Prénom NOM : Odile SAUVAGET
- Fonction : Directrice Santé respiratoire France
- Adresse électronique : odile.sauvaget@sante-respiratoire.com
- Téléphone : 06 28 40 69 24



Données personnelles collectées

Les données personnelles recueillies ci-dessus font l'objet d'un traitement de données par la HAS. Elles sont à destination des collaborateurs de la HAS. Elles servent uniquement à la gestion des contributions des associations aux travaux de la HAS.

Sauf opposition de votre part, vos coordonnées seront conservées pour pouvoir éventuellement vous solliciter pour d'autres travaux de la HAS. Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par mail à l'adresse suivante dpo@has-sante.fr

Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

☐ Oui

☒ Non



Vous devez remplir cette rubrique même si vous avez coché 'non' à la question ci-dessus. Votre décision sera respectée.

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine de votre financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), sur les trois dernières années.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : **302 300** (2021)
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : **229 580** (2022)
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : **240 0000** (2023)
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : **286 000** (2024)

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2024	ALK	20 000	Moins de 10 %
2024	Astra Zeneca	40 000	Moins de 20 %
2024	Chiesi	40 000	Moins de 20 %
2024	GSK	40 000	Moins de 20 %
2024	Murprotec	40 000	Moins de 20 %
2024	Resmed	20 000	Moins de 10 %
2024	Sanofi	46 0000	Moins de 20 %
2024	SOS Oxygène	40 0000	Moins de 20 %
2023	Astra Zeneca	40 000	Moins de 20%
2023	ALK	20 000	Moins de 10 %
2023	Chiesi	40 000	Moins de 20%
2023	GSK	40 000	Moins de 20 %
2023	Resmed	20 000	Moins de 10%
2023	SOS Oxygène	40 000	Moins de 20 %
2023	Sanofi	40 000	Moins de 20 %
2022	Astra Zeneca	40 000	Moins de 20 %
2022	Chiesi	40 000	Moins de 20 %

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

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : BEYFORTUS nirsévimab

Dénomination commune internationale (DCI) : nirsévimab

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Est indiqué pour la prévention des maladies des voies respiratoires inférieures causées par le virus respiratoire syncytial (VRS) chez :

- Les nouveau-nés et les nourrissons pendant leur première saison de circulation du VRS.
- Les enfants jusqu'à l'âge de 24 mois qui restent vulnérables à une maladie sévère due au VRS au cours de la deuxième saison du VRS.

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 ?

→ L'impact immédiat sur la santé individuelle du nourrisson

L'infection ou la réinfection par le VRS peut s'avérer particulièrement critique chez les nourrissons. Cette vulnérabilité est liée à leur immaturité, tant sur le plan immunologique, que sur le plan anatomique et physiologique respiratoire (bronches de très petit calibre, s'obstruant facilement). La toux du tout-petit étant par ailleurs moins efficace, les bronches du nourrisson ont une propension à s'encombrer plus facilement.

L'infection à VRS peut s'accompagner de co-infections : pneumopathies directement imputables au VRS ou à des surinfections à pneumocoques, des otites moyennes aiguës.

→ Les manifestations cliniques :

- **La bronchiolite, un poids lourd chez les enfants de moins de 2 ans¹**
Première cause d'hospitalisation en pédiatrie

¹ Sources : Santé publique France et <https://bmcinfectdis.biomedcentral.com/articles/10.1186/s12879-021-06399-8>

- Elle touche chaque hiver près de 30 % des nourrissons de moins de 2 ans, soit environ 480 000 cas par an (données Santé publique France).
 - Elle représente environ 30 000 hospitalisations par an chez les enfants de moins de 2 ans. Parmi ces enfants, les 2/3 ont moins de 6 mois (75 % environ dues au VRS) (Santé publique France).
 - 22 % à 28 % des hospitalisations des nourrissons de moins de 1 an sont dues au VRS durant la saison hivernale.
 - En France, 87 % des enfants hospitalisés pour une maladie associée au VRS sont nés à terme et en bonne santé.
 - Entre 2010 et 2018, près de la moitié (47 %) des hospitalisations associées au VRS ont été enregistrées chez les nourrissons nés en dehors de la saison du VRS.
- **Des otites**
 - **Des infections à pneumocoques** (associées ou déclenchées à un VRS). Environ 40 % des pneumonies à pneumocoques chez les enfants de moins de 2 ans sont associées au VRS.

→ L'impact à moyen et/ou long terme sur la « trajectoire respiratoire » de l'enfant

- Le VRS est un virus susceptible de provoquer des détresses respiratoires aiguës (SDRA) avec des séquelles potentielles.
- Un tiers des enfants hospitalisés pour bronchiolite liée au VRS seront réhospitalisés dans les trois mois qui suivent. Pour moitié d'entre eux, la cause est une pathologie secondaire au VRS.
- Les enfants ayant été hospitalisés pour une infection sévère à VRS peuvent développer des complications associées et/ou déclenchées sur le long terme telles que : une respiration sifflante récurrente, de l'asthme du nourrisson et/ou de l'enfant. L'asthme est un co-facteur de l'infection.

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

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

Questionnaire adressé via le site internet Mpdia aux parents dont l'enfant avait fait une bronchiolite la saison précédente. Les parents et la campagne d'immunisation contre la bronchiolite, enquête MPEDIA, février 2024 ([source](#))

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

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

homme/femme, enfant/adulte, etc.

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

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

→ Un impact significatif de la bronchiolite sur la cellule familiale³

Cet impact peut persister 3 à 4 semaines après l'épisode de bronchiolite lui-même.

Impact sur l'organisation de la famille :

- 60 % des parents ont dû cesser leur activité professionnelle entre 1 et 5 jours (un impact non répertorié car souvent intégré dans les jours de congés pour enfants malades)
- La problématique de la gestion de fratrie est présente (modes de garde alternatifs).

Impact psychologique :

- 93 % des familles ont annoncé avoir été anxieuses à l'annonce du diagnostic.
- 98 % ont été anxieuses pendant la maladie.
- 97 % ont été anxieuses pendant une hospitalisation.

Ces chiffres permettent d'éclairer les raisons pour lesquelles l'acceptation de la prévention par immunisation passive des nouveau-nés a été majeure en 2023. La bronchiolite est un véritable problème de santé publique et un réel traumatisme pour les familles et l'entourage, directement impactés.

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

³ Questionnaire adressé via le site internet Mpdia aux parents dont l'enfant avait fait une bronchiolite la saison précédente. Les parents et la campagne d'immunisation contre la bronchiolite, enquête MPEDIA, février 2024 ([source](#))

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.

- L'hiver 2022-2023 a été marqué par une épidémie de bronchiolite due au virus respiratoire syncytial (VRS) particulièrement intense, saturant l'ensemble du système de soins par les nombreux passages aux urgences et hospitalisations de jeunes nourrissons⁴. Face à cette situation, **les autorités sanitaires ont lancé une campagne d'immunisation préventive des nourrissons dès le 15 septembre 2023. La France a ainsi été l'un des premiers pays à administrer le nirsevimab, un traitement à base d'anticorps monoclonal à action prolongée administré en une seule dose (Beyfortus® ; une injection intramusculaire), pour prévenir les infections des voies respiratoires inférieures liées au VRS.**
 - **Le palivizumab**, un « anticorps monoclonal » anti-VRS à action immédiate : onéreux (plusieurs centaines d'euros par injection) / Très contraignant (injections répétées avec des volumes qui vont crescendo, corrélés au poids de l'enfant) / Et administré uniquement aux bébés les plus fragiles (principalement les grands prématurés, en particulier ceux souffrant d'une pathologie respiratoire).
 - En août 2023, les autorités de santé européennes ont approuvé un **vaccin maternel pour** la protection passive des jeunes nourrissons contre les infections à VRS dans une indication : la protection passive contre la maladie des voies respiratoires inférieures causée par le VRS chez les nourrissons de la naissance jusqu'à l'âge de 6 mois à la suite de l'immunisation active de la mère pendant la grossesse. Les modalités d'accès au vaccin Abrysvo ne sont pas encore connues et feront l'objet d'une communication ultérieure.
-
- La prévention de la bronchiolite repose également **sur les mesures d'hygiène** :
 - Se laver les mains avant d'approcher un nourrisson.
 - Eviter que les personnes infectées ne viennent embrasser les bébés,

⁴ Voir synthèse table ronde Santé respiratoire France du 6 juillet 2023 ([lire](#)).

- Porter un masque en cas d'infection,
- Éviter, quand cela est possible, d'emmener son enfant dans les endroits publics confinés (transports en commun, centres commerciaux, etc.), où il risquerait d'être en contact avec des personnes enrhumées)
- Ne pas partager les biberons, sucettes ou couverts non lavés
- Aérer la chambre en ouvrant les fenêtres au moins 10 minutes par jour
- Ne pas fumer à proximité des bébés et des enfants
- Nettoyer régulièrement les objets avec lesquels le nourrisson est en contact (jeux, tétines...).

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le nirsevimab - nouvel anticorps monoclonal à longue durée d'action - **représente une avancée majeure en termes de santé publique**, avec plusieurs améliorations notables :

- Un mode d'administration simple (une unique injection intramusculaire), probablement plus acceptable par les familles,
- Une efficacité renforcée sur le VRS*,
- Un élargissement de la prescription = conçu pour protéger tous les nourrissons contre les infections par le VRS, de la naissance jusqu'à leur première saison où circule le virus. La prescription n'est plus réservée aux enfants ayant les facteurs de risque les plus importants. Cela constitue un réel progrès car de nombreuses études ont montré qu'en France, 87 % des enfants hospitalisés sont des enfants nés à terme en bonne santé (soit environ 50 000 hospitalisations par an),
- Un profil de sécurité et de tolérance satisfaisant⁵.

**Des données de l'essai clinique de phase IIb HARMONIE montrent une réduction de 83,21 % des hospitalisations pour infections des voies respiratoires inférieures dues au VRS, chez les nourrissons de moins de 12 mois ayant reçu une seule dose de nirsevimab, comparativement aux nourrissons n'ayant reçu aucun traitement préventif contre le VRS.*

→ Une acceptation forte de l'immunisation passive du nouveau-né en 2023

La campagne d'immunisation passive par anticorps monoclonal spécifique au VRS, organisée par les pouvoirs publics pour l'ensemble des nourrissons nés à partir du 6 février 2023 en métropole, a rencontré une forte adhésion de la part des professionnels de santé et des parents. Selon une enquête menée par l'AFPA R&D auprès de plus de 3 000 parents de milieux socioéconomiques différents, **plus de 80 % ont accepté d'immuniser leur enfant** au moyen de ce traitement préventif contre la bronchiolite lors de la saison 2023⁶.

A noter : les familles n'avaient aucune avance de frais pour que leur nouveau-né reçoive le Nirsevimab.

→ Au-delà de l'acceptabilité, une sécurité démontrée et une efficacité en vie réelle sur la réduction des hospitalisations

- En **Europe**, les données disponibles au Luxembourg⁷ et en Espagne⁸ à propos de l'utilisation de Beyfortus[®] en vie réelle lors de la saison VRS 2023/2024 confortent les résultats des études cliniques ayant permis la mise sur le marché de ce produit. Elles mettent en lumière l'impact significatif de ce traitement préventif sur les hospitalisations en lien avec une infection à VRS.

⁵ Hammitt LL, Dagan R, Yuan Y, et al ; MELODY Study Group. Nirsevimab for Prevention of RSV in Healthy Late-Preterm and Term Infants. N Engl J Med. 2022 Mar 3;386(9):837-846.

⁷ Impact of nirsevimab prophylaxis on paediatric respiratory syncytial virus (RSV)-related hospitalisations during the initial 2023/24 season in Luxembourg ([lien](#))

⁸ NIRSE-GAL study: evolution of Immunization Coverage with Nirsevimab ([lien](#))

- En France :
 - L'efficacité du nirsevimab en vie réelle contre les cas graves de bronchiolite a été estimée entre 75,9 % et 80,6 % pour les nourrissons admis en réanimation.⁹
 - Une nette diminution du nombre d'hospitalisations de nourrissons : en France métropolitaine, entre le 15 septembre 2023 et le 31 janvier 2024, 5 800 hospitalisations pour bronchiolite ont été évitées grâce au nirsevimab selon une modélisation mathématique effectuée par l'Institut Pasteur.¹⁰ Concrètement, cela correspond à une réduction de 23 % du nombre total d'hospitalisations pour bronchiolite à VRS après passage aux urgences (- 35% chez les 0 – 2 mois), comparativement à un scénario sans immunisation préventive.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les enjeux concernant la vaccination de la femme enceinte

Les recommandations vaccinales font l'objet d'une **adhésion très variable** chez la femme enceinte. **Des efforts de communication restent à mener pour 1/ Expliquer la vaccination maternelle contre le VRS** et agir sur la perception du risque par les femmes enceintes. **2/ Apporter une information pédagogique aux parents** sur les enjeux de la vaccination paraît fondamental (sur les risques liés à une infection à VRS, sa gravité potentielle pour le bébé, etc.). **3/ Fournir une information claire sur les différences entre chaque type d'immunisation passive et leurs objectifs.**

Inconvénients concernant le palivizumab : onéreux (plusieurs centaines d'euros par injection) / Très contraignant (injections répétées avec des volumes qui vont crescendo, corrélés au poids de l'enfant) / Et administré uniquement aux bébés les plus fragiles (principalement les grands prématurés, en particulier ceux souffrant d'une pathologie respiratoire).

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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,*

⁹ Communiqué de presse de Santé publique France du 26/04/24 « Bronchiolite : deux études françaises démontrent l'efficacité du Beyfortus® dans la prévention des cas graves et la réduction des hospitalisations chez les nourrissons »

¹⁰ Communiqué de presse de Santé publique France du 26/04/24 « Bronchiolite : deux études françaises démontrent l'efficacité du Beyfortus® dans la prévention des cas graves et la réduction des hospitalisations chez les nourrissons »

les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives ;

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

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



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

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

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

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

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

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



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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



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

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

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 ?

→ Les enjeux généraux de la prochaine campagne contre la bronchiolite à VRS

- **Accompagner la décision et le choix de la décision au cours de la grossesse en écoutant puis informant sur les deux moyens possibles d'immunisation passive mis à disposition vis-à-vis du VRS (vaccination femme enceinte + Beyfortus).** Un rôle fondamental pour les associations et les professionnels de santé. Selon une étude de l'Association pour la prévention des risques de la santé et le bien-être des enfants et futurs parents (APSEF)¹¹, l'interlocuteur en qui les femmes ont le plus confiance sur le sujet de l'immunisation est le professionnel de santé (81 %), suivi par : un site internet de confiance tel que ameli.fr ou mpdia.fr (6 %), l'actualité et les médias (5 %).
- **Porter une attention particulière aux personnes de catégories socio-professionnelles plus défavorisées (CSP -),** moins bien informées lors de la dernière campagne et dont on sait par ailleurs qu'elles paient un plus lourd tribut aux infections à VRS (cf étude Epi-PHARE sur l'utilisation de Beyfortus® en ville lors de la première campagne de prévention¹²).

¹¹ Référence : étude menée en 2023 (étude en cours, résultats définitifs à venir).

¹² Utilisation de Beyfortus® en ville lors de la première campagne de prévention (saison 2023-2024) – [Voir le rapport](#)

- **Mobiliser l'ensemble des acteurs pour une diffusion des messages au plus proche des personnes concernées** : pouvoirs publics, professionnels de santé, médias. Les associations ont également un rôle à jouer pour porter cette communication avec des messages clairs, vulgarisés et validés scientifiquement.

A noter : les **sage-femmes** ont une place privilégiée dans l'accompagnement des femmes enceintes. Il est essentiel que leur information soit aussi complète que possible afin de la transmettre en connaissance de cause aux femmes enceintes en temps voulu.

Les **professionnels de la petite enfance** sont formés aux messages de santé publique (dans les crèches, par exemple). Au-delà, il ne faut pas négliger la formation des « nounous » et **assistantes maternelles**. Ces dernières peuvent être des relais de santé publique efficaces après des parents, en suscitant des interrogations (sur les symptômes, les solutions de prévention) et en portant des messages clairs et vulgarisés auprès des parents. L'association APSEF a entrepris des actions de formation en ce sens.

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



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment¹³ sur deux points :

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

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

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

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

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

¹³ Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)



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

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin¹⁴.



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,

¹⁴ Également appelées « variables d'intérêt »

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

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

☐ Oui

☐ Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



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

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ **Oui**

☐ Non

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

Nom – Prénom : Frédéric le Guillou

Adresse mail : president@sante-respiratoire.com

Pour quelles raisons ?

Pour pouvoir exposer nos arguments et notre vision quant à l'opportunité que représente cette nouvelle solution de prévention des infections respiratoires à VRS pour les nourrissons.

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.

Environ 60 à 70 % des nourrissons rencontrent pour la première fois le VRS durant leur première année de vie. A 2 ans, la séroprévalence est quasiment de 100 %.

La bronchiolite est par ailleurs un véritable problème de santé publique et un réel traumatisme pour les familles et l'entourage, directement impactés. Ce constat explique la forte acceptation de la prévention par immunisation passive des nouveau-nés en 2023.

L'élargissement de la prescription de ce nouvel anticorps monoclonal constitue un réel progrès car de nombreuses études ont montré qu'en France, 87 % des enfants hospitalisés sont des enfants nés à terme en bonne santé (soit environ 50 000 hospitalisations par an).

→ Les enjeux généraux de la prochaine campagne contre la bronchiolite à VRS

- **Accompagner la décision et le choix de la décision au cours de la grossesse en écoutant puis informant sur les deux moyens possibles d'immunisation passive mis à disposition vis-à-vis du VRS (vaccination femme enceinte + Beyfortus).** Un rôle fondamental pour les associations et les professionnels de santé. Selon une étude de l'Association pour la prévention des risques de la santé et le bien-être des enfants et futurs parents (APSEF)¹⁵, l'interlocuteur en qui les femmes ont le plus confiance sur le sujet de l'immunisation est le professionnel de santé (81 %), suivi par : un site internet de confiance tel que ameli.fr ou mpdia.fr (6 %), l'actualité et les médias (5 %).
- **Fournir une information claire sur les différences entre chaque type d'immunisation passive et leurs objectifs.**
- **Porter une attention particulière aux personnes de catégories socio-professionnelles plus défavorisées (CSP -),** moins bien informées lors de la dernière campagne et dont on sait par ailleurs qu'elles paient un plus lourd tribut aux infections à VRS (cf étude Epi-PHARE sur l'utilisation de Beyfortus® en ville lors de la première campagne de prévention¹⁶).
- **Mobiliser l'ensemble des acteurs pour une diffusion des messages au plus proche des personnes concernées :** pouvoirs publics, professionnels de santé, médias. Les associations ont également un rôle à jouer pour porter cette communication avec des messages clairs, vulgarisés et validés scientifiquement.

¹⁵ Référence : étude menée en 2023 (étude en cours, résultats définitifs à venir).

¹⁶ Utilisation de Beyfortus® en ville lors de la première campagne de prévention (saison 2023-2024) – [Voir le rapport](#)

A noter : les **sage-femmes** ont une place privilégiée dans l'accompagnement des femmes enceintes. Il est essentiel que leur information soit aussi complète que possible afin de la transmettre en connaissance de cause aux femmes enceintes en temps voulu.

Les **professionnels de la petite enfance** sont formés aux messages de santé publique (dans les crèches, par exemple). Au-delà, il ne faut pas négliger la formation des « nounous » et **assistantes maternelles**. Ces dernières peuvent être des relais de santé publique efficaces auprès des parents, en suscitant des interrogations (sur les symptômes, les solutions de prévention) et en portant des messages clairs et vulgarisés auprès des parents. L'association APSEF a entrepris des actions de formation en ce sens.

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.

Cette avancée pharmacologique ne doit pas faire oublier **l'importance des gestes barrières**, des consignes simples mais toujours négligées : se laver les mains, éviter que les personnes infectées ne viennent embrasser les bébés, porter un masque en cas d'infection, éviter les expositions en collectivité, éviter le tabagisme, favoriser l'allaitement maternel.

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 ?

Sources :

- Organisation d'une table ronde le 11 avril 2024 portant sur la thématique « **Infections respiratoires à VRS : les prévenir à tous les âges de la vie !** », réunissant des experts aux regards croisés (pneumologues, pédiatres, représentants d'associations et patients). Cette table ronde a permis de définir des messages clés pour améliorer la prévention des infections à VRS tout au long de la vie. Une synthèse complète de ces échanges est disponible sur le site internet de l'association : <https://sante-respiratoire.com/sante-respiratoire-france-table-ronde-prevention-infections-vrs-a-tous-les-ages-de-la-vie/>
- Etudes scientifiques,
- Enquêtes de vécu/opinions auprès des parents
- Données Santé publique France,

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Odile SAUVAGET (Directrice Santé respiratoire France)

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

NON

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

1H30

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

Conception du questionnaire

Ce questionnaire a été construit en collaboration avec des représentants associatifs via un groupe de travail dédié. Pour plus d'information, [cliquez ici](#).

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

