



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

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

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	6
1. Questionnaire – Partie A	7
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	7
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	7
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	11
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	11
1.3. Le médicament évalué	13
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	13
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	14
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	14
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	14
1.3.2.3. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	15
1.3.2.4. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	16
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	17
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	17
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	18
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	19
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	19
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	21
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	22
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	23
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	24

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) :

Association Renaloo

Site internet :

www.renaloo.com

Adresse postale (le cas échéant) :

c/o Le Gymnase / 29 bis Rue Buffon, 75005 Paris

Nature de la structure :

Association agréée au niveau national

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

France Assos Santé

European Kidney Patients Federation

European Kidney Health Alliance

Global Patients Kidney Alliance

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

FILSPARI

Dénomination commune internationale (DCI) :

Sparsentan

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

Médicament en accès précoce post-AMM dans le traitement des patients adultes atteints d'une néphropathie à immunoglobulines A primitive, présentant une protéinurie $\geq 1,0$ g/jour (ou un rapport protéinurie/créatininurie $\geq 0,75$ g/g)

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

En vue du remboursement de droit commun

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

La néphropathie à immunoglobuline A (IgA), également connue sous le nom de maladie de Berger, est une maladie rénale rare, mais l'une des causes les plus courantes d'insuffisance rénale terminale chez les patients jeunes dans le monde. Elle se caractérise par des dépôts anormaux d'IgA dans les glomérules rénaux, ce qui déclenche une réponse inflammatoire et une altération de la fonction rénale.

Le nombre de nouveaux cas de néphropathie à IgA diagnostiqués chaque année en France est estimé à 1500¹. En Europe, l'incidence annuelle de la néphropathie à immunoglobuline A (IgAN pour Immunoglobulin A nephropathy) est d'environ 1/131 578, avec une prévalence ponctuelle de 1/3 952. Des prévalences plus élevées sont observées en Asie et plus faibles en Afrique. Le sex-ratio est d'environ 2:1 chez les Européens².

Particularités du diagnostic

La néphropathie à IgA se déclare le plus souvent chez l'adulte jeune, en moyenne à partir de 20 ans, mais elle peut également se manifester chez l'enfant ou chez l'adulte plus âgé. Les patients les plus fréquemment touchés font rarement partie des groupes à risque de maladie rénale chronique, échappent aux dépistages recommandés, et sont donc généralement diagnostiqués de manière opportuniste ou fortuite, souvent de façon tardive.

C'est le plus souvent un examen des urines par bandelettes réactives (via le médecin de famille, la médecine du travail, scolaire, universitaire, sportive, etc.) qui fait découvrir une hématurie microscopique et parfois une protéinurie. Le diagnostic nécessite la réalisation d'une biopsie rénale.

Ce diagnostic souvent tardif, associé à des options thérapeutiques jusque-là limitées, à l'absence de traitement spécifique et à une prise en charge non optimale conduisent une proportion importante des patients à développer une insuffisance rénale évolutive, et pour certains, à atteindre le stade terminal.

Evolution de la néphropathie à IgA

S'il n'existe pas de cohorte ou de registre consacré à cette pathologie en France, le registre RaDaR³ au Royaume-Uni (dont la population est comparable à celle de la France) apporte des informations importantes :

- peu de patients atteints ne développent pas d'insuffisance rénale au cours de leur vie⁴
- les patients traditionnellement considérés comme à faible risque, avec une protéinurie <0,88 g/g (<100 mg/mmol), présentent des taux élevés d'insuffisance rénale dans les 10 ans⁵.

¹ <https://www.orpha.net/pdfs/data/patho/Pub/fr/berger-frfrpub10331.pdf>

² <https://www.orpha.net/fr/disease/detail/34145>

³ RaDaR est financé par le Medical Research Council, Kidney Research UK, Kidney Care UK, et le Polycystic Kidney Disease Charity.

⁴ Analysis of RaDaR registry data presented at the European Renal Association e-seminar; Immunonephrology Working Group "IgA nephromathy and novel treatments" 7 mai 2024 voir <https://www.era-online.org/video-pages/iga-nephropathy-and-novel-treatments/>

- 10 % de tous les patients en dialyse dans le Royaume-Uni sont atteints de la néphropathie à IgA⁶.

La néphropathie à IgA n'entraîne en effet en général aucun symptôme avant un stade très avancé.

Différentes études ont permis d'estimer le pourcentage d'insuffisance rénale terminale selon la durée d'évolution :

- 10 ans après le début apparent de la maladie : 5 à 10 % des patients ;
- 20 ans après le début : 20 à 30% des patients.
- Environ 25% des enfants suivis plus de 20 ans avaient développé une insuffisance rénale terminale.

Conséquences de l'insuffisance rénale

L'insuffisance rénale chronique entraîne notamment : une anémie, responsable de fatigue ; des anomalies des os dues aux perturbations des taux sanguins de calcium, de phosphore, des bicarbonates, et de l'hormone parathyroïdienne ; des complications cardiaques, une hypertension artérielle ; éventuellement des crises de goutte par augmentation de l'acide urique dans le sang et une diminution des mécanismes de défense contre les infections.

Qualité de vie

L'impact sur la qualité de vie de l'insuffisance rénale est important. Les patients souffrant d'insuffisance rénale présentent une charge symptomatique (fatigue, douleurs, etc.) similaire ou supérieure à celle des patients atteints de tumeurs malignes en phase terminale^{7 8}.

Au moins 45 % des patients ayant une maladie rénale chronique avant le stade de la dialyse ou de la greffe rapportent une fatigue, une mobilité réduite, des douleurs osseuses et/ou articulaires, de la somnolence, des insomnies et/ou un sommeil insuffisant, de l'anxiété, des douleurs, un dysfonctionnement sexuel, des crampes musculaires, des troubles gastro-intestinaux, des dyspnées, des démangeaisons, des brûlures d'estomac ou des œdèmes⁹.

⁵ Pitcher D, Braddon F, Hendry B, Mercer A, Osmaston K, Saleem MA, Steenkamp R, Wong K, Turner AN, Wang K, Gale DP, Barratt J. Long-Term Outcomes in IgA Nephropathy. *Clin J Am Soc Nephrol.* 2023 Jun 1;18(6):727-738. doi: 10.2215/CJN.000000000000135. Epub 2023 Apr 13. PMID: 37055195; PMCID: PMC10278810.

⁶ European Renal Association e-seminar; Immunonephrology Working Group "IgA nephromathy and novel treatments" 7 mai 2024 voir <https://www.era-online.org/video-pages/iga-nephropathy-and-novel-treatments/>

⁷ Jhaveri, K.D., Bensink, M.E., Bunke, M. et al. Humanistic and Economic Burden of IgA Nephropathy: Systematic Literature Reviews and Narrative Synthesis. *PharmacoEconomics Open* 7, 709–722 (2023). <https://doi.org/10.1007/s41669-023-00415-0>

⁸ Kalantar-Zadeh, K. et al. Patient-centred approaches for the management of unpleasant symptoms in kidney disease. *Nat. Rev. Nephrol.* **18**, 185–198 (2022).

⁹ Fletcher, B. R. et al. Symptom burden and health-related quality of life in chronic kidney disease: a global systematic review and meta-analysis. *PLOS Med.* **19**, e1003954 (2022).

Les enfants atteints d'insuffisance rénale chronique ont une moins bonne qualité de vie que ceux atteints de diabète de type 1 ou que les survivants d'un cancer¹⁰.

Leurs résultats scolaires et leur devenir professionnels sont fortement compromis^{11 12 13}.

Qualité de la prise en charge avant le stade terminal

L'Assurance Maladie a publié dans son rapport Charges et Produits 2025 les résultats d'une étude sur le parcours de soins des patients durant les deux années qui précèdent la dialyse. Elle montre notamment que les **patients de moins de 60 ans semblent moins bien suivis que les plus âgés**. C'est pourtant dans ce groupe d'âge que l'on retrouve les maladies rénales qui progressent le plus rapidement, la néphropathie à IgA étant une des plus fréquentes¹⁴.

Accès à la greffe

L'insuffisance rénale terminale doit être traitée de préférence par transplantation rénale - les patients atteints de néphropathie à IgA ayant en général peu de contre-indications à la greffe - à défaut par dialyse. Cependant :

- L'inscription sur liste d'attente de greffe reste fréquemment tardive en France¹⁵.
- Les délais d'attente pour une greffe de donneur décédés sont croissants, en particulier pour les patients jeunes¹⁶.
- La greffe rénale de donneur vivant, considérée comme le meilleur traitement, représente environ 16% des greffes rénales en France. Elle reste insuffisamment développée au regard des pratiques de pays voisins, comme le Royaume-Uni (27%) ou les Pays-Bas (50%), et se heurte fréquemment à des difficultés organisationnelles à l'hôpital (notamment accès aux blocs opératoires) qui retardent et limitent son accès.

¹⁰ Francis, A. et al. Quality of life of children and adolescents with chronic kidney disease: a cross-sectional study. *Arch. Dis. Child* **104**, 134–140 (2019).

¹¹ Mizerska-Wasiak M, Adamczuk D, Cichoń-Kawa K, Miklaszewska M, Szymanik-Grzelak H, Pietrzyk JA, Pukajło-Marczyk A, Zwolińska D, Rybi-Szumińska A, Wasilewska A, Bieniaś B, Sikora P, Firszt-Adamczyk A, Stankiewicz R, Szczepańska M, Pańczyk-Tomaszewska M. Health-related quality of life in children with immunoglobulin A nephropathy - results of a multicentre national study. *Arch Med Sci.* 2020 Nov 24;17(1):84-91. doi: 10.5114/aoms.2020.100367. PMID: 33488859; PMCID: PMC7811315.

¹² Kim, S. et al. Cognitive and academic outcomes in children with chronic kidney disease. *Pediatr. Nephrol.* **37**, 2715–2724 (2022).

¹³ Khalid, R. et al. Association between socioeconomic status and academic performance in children and adolescents with chronic kidney disease. *Pediatr. Nephrol.* **37**, 3195–3204 (2022).

¹⁴ Rapport au ministère chargé de la Sécurité sociale et au Parlement sur l'évolution des charges et des produits de l'Assurance Maladie au titre de 2025 (loi du 13 août 2004) « Améliorer la qualité du système de santé et maîtriser les dépenses : Propositions de l'Assurance Maladie pour 2025 »

¹⁵ La HAS recommande que l'inscription sur liste d'attente de greffe soit réalisée entre 12 et 18 mois avant le démarrage prévisible de la dialyse. Cependant, l'accès à la liste d'attente des patients jeunes est souvent tardif et insuffisant (Rapport REIN 2021).

- Au bout d'un an de dialyse, moins de 40% des patients de moins de 60 ans sont inscrits en Alsace, Auvergne, Limousin, Nord-Pas-de-Calais, Poitou-Charentes, PACA, Outre-mer.
- Ce taux est de plus de 60% en Aquitaine, Ile-de-France, Languedoc-Roussillon, Midi-Pyrénées, Rhône-Alpes.

¹⁶ <https://renaloo.com/greffe-renale-des-durees-dattente-tres-inegales-selon-les-hopitaux-mais-aussi-selon-lage-et-le-groupe-sanguin/>

Pour ces raisons, la greffe préemptive, bien qu'elle constitue le traitement de choix, reste malheureusement insuffisamment accessible, conduisant à des périodes parfois longues de dialyse avant la greffe.

Conséquences de la dialyse

La dialyse ne remplace que très partiellement la fonction d'un rein normal. Elle est donc associée à une urémie persistante et à ses conséquences. L'espérance de vie en dialyse reste très diminuée, les hospitalisations, en particulier pour événements cardiovasculaires et infections, sont fréquentes, le fardeau des symptômes est considérable et la qualité de vie est profondément altérée^{17,18,19}.

La survie relative à 5 ans des patients en dialyse en France (51%)²⁰ est inférieure à celle des patients atteints d'un cancer de la prostate, de la peau, du sein, du col de l'utérus, du côlon ou des ovaires²¹. Cette espérance de vie limitée ne concerne pas seulement les tranches d'âges élevées. Les patients hémodialysés âgés de 45 à 49 ans ont une espérance de vie d'environ 11,7 ans²², inférieure à celle de la population générale de 75 à 79 ans²³.

Une étude à partir des données du registre européen ERA vient de montrer que l'espérance de vie d'un jeune adulte de 18 ans dialysé est inférieure de 40 ans à celle de la population générale et de 17 ans s'il est greffé, respectivement²⁴.

L'étude française QUAVIREIN a montré que la qualité de vie des patients dialysés était très fortement diminuée par rapport à celle de la population générale, en faisant une des pathologies entraînant la plus forte dégradation de la qualité de vie²⁵. Elle montre également que si la qualité de vie après la greffe reste dégradée, elle est fortement améliorée par rapport à la dialyse.

Une méta-analyse de 2022 a confirmé que pour les patients dialysés, le score résumé de la composante physique de l'enquête Short Form Health Survey (SF-36) en 36 points est seulement de 36 sur 100²⁶.

L'impact sur la vie sociale et professionnelle est également majeur.

En France, moins de 18% des patients dialysés et 52% des patients transplantés en âge de travailler ont une activité professionnelle²⁷, contre 82% en population générale. 66 % des patients dialysés vivent en dessous du seuil de pauvreté, contre 14% de la population générale.

Compte tenu des conséquences majeures, en termes médicaux, humains et économiques de l'évolution de la néphropathie à IgA vers l'insuffisance rénale et le recours à la dialyse et à la

¹⁷ United States Renal Data System. US Renal Data System 2019 Annual Data Report: epidemiology of kidney disease in the United States. https://www.usrds.org/2019/view/USRDS_2019_ES_final.pdf (2019).

¹⁸ Davison SN, Jhangri GS, Johnson JA. Cross-sectional validity of a modified Edmonton symptom assessment system in dialysis patients: a simple assessment of symptom burden. *Kidney Int.* 2006;69:1621–1625. doi: 10.1038/sj.ki.5000184.

¹⁹ Weisbord SD, et al. Renal provider recognition of symptoms in patients on maintenance hemodialysis. *Clin. J. Am. Soc. Nephrol.* 2007;2:960–967. doi: 10.2215/CJN.00990207.

²⁰ Rapport REIN 2021

²¹ <https://www.e-cancer.fr/Expertises-et-publications/Les-donnees-sur-les-cancers/Survie-des-personnes-atteintes-de-cancer-en-France-metropolitaine/Tumeurs-solides>

²² Rapport REIN 2021

²³ INSEE

²⁴ <https://academic.oup.com/ndt/advance-article/doi/10.1093/ndt/gfae189/7740796>

²⁵ Speyer E, Briançon S, Jacquelinet C, Beauger D, Baudelot C, Caille Y, et al. Qualité de vie des personnes en insuffisance rénale chronique terminale en France en 2011. *Bull. Epidémiol. Hebd.* 2014;(37-38):623-30. http://www.invs.sante.fr/beh/2014/37-38/2014_37-38_4.html

²⁶ Fletcher, B. R. et al. Symptom burden and health-related quality of life in chronic kidney disease: a global systematic review and meta-analysis. *PLOS Med.* 19, e1003954 (2022).

²⁷ <https://renaloo.com/travailler-avec-la-dialyse-ou-la-greffe-un-defi-les-resultats-d-une-grande-enquete/>

greffe, la possibilité de disposer d'options thérapeutiques permettant de la ralentir ou de la stopper est une réelle opportunité.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients²⁸ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

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 ?

La présence d'une personne atteinte d'IRC dans une famille a un impact négatif sur la santé mentale des aidants, dont 30 à 50 % signalent des symptômes d'anxiété ou de dépression^{29 30 31 32}.

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).

²⁸ 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.

²⁹ Mahmoud, D. A. M., Saad, A., Abdelhamid, Y. H. & El Hawary, Y. Depression and psychosocial burden among caregivers of children with chronic kidney disease. *Middle East Curr. Psychiatry* **28**, 12 (2021).

³⁰ Pereira, Bd. S. et al. Beyond quality of life: a cross sectional study on the mental health of patients with chronic kidney disease undergoing dialysis and their caregivers. *Health Qual. Life Outcomes* **15**, 74 (2017).

³¹ Shukri, M., Mustofai, M. A., Md Yasin, M. A. S. & Tuan Hadi, T. S. Burden, quality of life, anxiety, and depressive symptoms among caregivers of hemodialysis patients: the role of social support. *Int. J. Psychiatry Med.* **55**, 397–407 (2020).

³² Adejumo, O. A., Iyawe, I. O., Akinbodewa, A. A., Abolarin, O. S. & Alli, E. O. Burden, psychological well-being and quality of life of caregivers of end stage renal disease patients. *Ghana Med. J.* **53**, 190–196, (2019).



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.

À ce jour, les patients atteints de néphropathie à IgA peuvent bénéficier de mesures de néphroprotection communes à toutes les MRC pour remédier à la perte continue de néphrons et retarder l'insuffisance rénale pour les personnes porteuses d'une MRC à partir du stade 3. Cette prise en charge comporte, selon le degré d'évolution de la maladie :

- L'éviction de certains médicaments néphrotoxiques
- Un régime : apports en sel, en potassium et en protéines
- L'arrêt du tabac, la normalisation du poids corporel
- Des médicaments anti-hypertenseurs : IEC et les ARA II ; éventuellement un médicament anti-hypertenseur d'une autre classe (diurétiques*, bêtabloquants, les inhibiteurs calciques)
- Un inhibiteur du cotransporteur sodium-glucose de type-2 (SGLT2)
- Éventuellement d'autres médicaments : supplément de fer ; érythropoïétine en cas d'anémie ; vitamine D et suppléments de calcium ; sels de calcium ou de médicaments retenant le phosphore dans le tube digestif ; résine échangeuse de potassium ; traitement visant à baisser le taux d'acide urique
- Éventuellement des corticoïdes, ou un immunosuppresseur.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Si ce diagnostic est posé suffisamment tôt, cette néphroprotection peut ralentir l'évolution de la maladie.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Certains de ces traitements, notamment les corticoïdes, présentent des effets indésirables importants, qui ont un impact sur la qualité de vie et sur l'adhésion thérapeutique.

La néphroprotection ne cible pas spécifiquement les mécanismes de la néphropathie à l'iga et ne s'attaque pas aux facteurs immunitaires et inflammatoires de la perte continue de néphrons pour réduire l'IgA pathogène.

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

L'accès à des traitements spécifiques, susceptibles de ralentir ou de stopper l'évolution de la maladie de manière plus efficace que l'existant, avec un profil de sécurité adapté et des effets indésirables limités, est un besoin majeur des patients.

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.

Pas de remarque.



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 :



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.

Les espoirs pour les patients sont :

- Une meilleure efficacité pour ralentir l'évolution de la maladie
- moins d'effets indésirables
- moins de contraintes au quotidien, moins d'impact sur la vie sociale, etc.
- alléger le fardeau, notamment psychologique, que représente la fatalité de l'évolution vers la dialyse ou la greffe

Le voie orale d'administration, à raison d'un comprimé par jour, n'entraîne pas de complexification majeure.

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 ?

Nos contacts avec des patients ayant participé aux essais cliniques ou qui ont accès au médicament dans d'autres pays semblent indiquer une bonne tolérance et peu de plaintes quant à d'éventuels effets indésirables.

Il existe des préoccupations sur les risques pour l'enfant à naître si le médicament est utilisé pendant la grossesse et sur les risques de lésions hépatiques.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Filspari (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 10) sont notamment les suivants: hypotension (faible pression artérielle), hyperkaliémie (taux élevé de potassium dans le sang), vertiges et œdème périphérique (gonflement des bras et des jambes).

Les effets indésirables moins couramment observés sous Filspari sont notamment les suivants : agitation, coma, diminution de la production d'urine, dépression, maux de tête, hostilité, irritabilité, léthargie, contractions musculaires, stupeur et un gonflement du visage, des chevilles ou des mains

L'effet indésirable grave le plus couramment observé (qui peut toucher jusqu'à une personne sur 100) est la lésion rénale aiguë (soudaine).

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

1.3.2.3. 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.

Ce médicament pourrait contribuer, avec d'autres à venir, à l'émergence d'une « médecine rénale personnalisée », ciblée, spécifiques aux mécanismes de la néphropathie à IgA, en complément des mesures classiques de néphroprotection.

L'espoir pour les patients est le ralentissement voire la rémission de leur maladie rénale, l'évitement des complications de l'IRC, et de retarder ou d'éviter le recours à la greffe ou à la dialyse, et peut-être à l'avenir, en association avec d'autres médicaments, la rémission définitive voire guérison de la maladie.

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

Le ralentissement de la progression de la néphropathie à IgA, et peut-être à l'avenir, en association avec d'autres médicaments, sa guérison.

Le FILSPARI pourrait ainsi changer la donne pour les patients en améliorant leur quantité de vie (espérance de vie, retarder ou éviter le recours à la dialyse, limiter le handicap), et leur qualité de vie (réduction des symptômes, de la limitation de la capacité de travail, du fardeau des traitements, etc.)

Outre l'intérêt en terme d'amélioration de la santé et de la vie des patients, ce traitement pourrait générer également des économies directes et indirectes, en particulier grâce à l'évitement des coûts de la dialyse, de la greffe, et des complications de l'insuffisance rénale, mais aussi grâce aux gains de productivité.

1.3.2.4. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

Quelles sont les principales craintes concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

Les risques pour l'enfant à naître vont impliquer des mesures contraignantes pour les jeunes femmes : test de grossesse avant l'initiation du traitement et mesures de contraception strictes pendant toute la durée du traitement et un mois après.

Compte-tenu de la population concernée par la néphropathie à IgA, l'accompagnement des patientes ayant des projets de grossesse devra faire l'objet de précautions importantes, d'autant que l'évolution de la maladie peut elle-même conduire à la nécessité de les anticiper.

C'est un sujet auquel notre association est particulièrement sensibilisée puisqu'il se pose aussi notamment avec certains traitements antirejet utilisés en transplantation rénale.

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 ?

Non applicable

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

Non applicable

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 notamment³³ 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).*

Non applicable

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.

³³ 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 ?

Non applicable

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. ?)

Non applicable

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 fin³⁴.



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.

³⁴ Également appelées « variables d'intérêt »

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

Non applicable

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

Non applicable

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 ?

Non

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 néphropathie à IgA est une maladie grave en raison de sa prévalence, de sa progression vers l'insuffisance rénale et de son impact sur la qualité de vie et l'espérance de vie des patients jeunes qu'elle frappe, dont elle modifie profondément l'existence. Elle a en outre des conséquences médico-économiques importantes, au plan individuel et collectif. Les options thérapeutiques sont aujourd'hui limitées et leur efficacité est relative. L'accès à des innovations thérapeutiques, ciblant spécifiquement la maladie, est essentiel pour les personnes touchées. Pour qu'un bénéfice optimal en soit tiré, il sera également nécessaire d'améliorer les conditions de dépistage, pour que les diagnostics puissent être plus précoces et plus précis.

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.

Pas de remarque.

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 ?

Renaloo représente une communauté de patients, dont une part importante sont atteints de néphropathie à IgA, qui s'informent et partagent régulièrement leurs expériences et leurs besoins au sein de l'association, sur ses canaux de médias sociaux et dans des forums plus larges du secteur de la santé. Cette communauté de personnes vivant avec une maladie de Berger apporte à Renaloo une importante expertise sur cette pathologie, sa prise en charge, ses enjeux.

Nous sommes également en contact avec des patients et associations d'autres pays, dans lesquels le FILPARI est d'ores-et-déjà accessible. Nous avons ainsi pu accéder, via leurs réseaux sociaux notamment, à des témoignages et retours d'expériences de patients traités avec le FILSPARI.

Au printemps 2023, Renaloo a lancé projet pluriannuel fédérateur de mobilisation sur la santé rénale, [« Cap sur la Santé Rénale »](#) pour atteindre les objectifs suivants :

- **L'engagement des patients**, quel que soit le stade de leur maladie rénale, au plan individuel et collectif, s'appuyant notamment sur leur accès à l'information.
- **Le dépistage ciblé et le ralentissement de la progression des maladies rénales chroniques**, en s'appuyant notamment sur les nouveaux traitements.
- **La réduction du nombre de patients arrivant au stade de suppléance et l'amélioration de l'accès à la greffe**, dans le contexte de déploiement du 4e plan greffe.
- **L'amélioration de la qualité de la prise en charge** des patients dialysés et greffés, contribuant notamment à l'amélioration de leur qualité de vie.

L'amélioration du dépistage, du diagnostic et de la prise en charge des maladies rénales rares, dont la néphropathie à IgA, est bien sûr un objectif majeur de ce projet.

Le projet s'appuie sur un [Comité des Ambassadeurs](#) qui accompagne l'association en portant une vision globale, prenant notamment en compte les facteurs de risque de maladies rénales et s'appuyant sur des expériences de mobilisation des patients, du grand public et des pouvoirs publics, y compris au plan européen.

Ce comité apporte à l'association son expertise sur la néphropathie à IgA, les thérapeutiques disponibles et à venir, la recherche clinique en cours/le pipeline de médicaments, notamment par

l'intermédiaire du Pr Nicolas Maillard, Professeur de Néphrologie au CHU Saint Etienne et expert français de la néphropathie à IgA, qui en fait partie.

Enfin, l'équipe de Renaloo est en contact avec des experts internationaux dans le domaine de la néphropathie à IgAN qui s'expriment régulièrement sur l'impact et la disponibilité des traitements actuels et nouveaux sur les patients. Par exemple les présentations faites par Pr Jonathan Barrat (Royaume Uni) voir <https://www.youtube.com/watch?v=TSIGaSyqTMc>

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

Comme indiqué ci-dessus, Renaloo représente une communauté de patients, dont un certain nombre sont atteints de néphropathie IgAn, qui partagent régulièrement leurs expériences et leurs besoins au sein de l'association, sur le forum de l'association, via ses canaux de médias sociaux, à l'occasion des rencontres qu'elle organise régulièrement, en ligne ou en présentiel (Cafés Renaloo notamment).

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

Yvanie Caillé, Fondatrice et vice-présidente de Renaloo, Amanda Dehaye, responsable de projets Renaloo.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

1.5 jours

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

Pas de remarque

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'usagers 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

