
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament pour
une demande d'autorisation
d'accès précoce

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

Mise à jour mars 2024

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	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	14
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	14
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	15
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	15
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	16
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	16
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	16
1.3.3.2. 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	20
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	21
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	22
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	24
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	25

Introduction

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

Note importante

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

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

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

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

Informations administratives (contact)

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association Française contre l'Amylose - AFCA

Site internet : <https://amylose.asso.fr/>

Adresse postale (le cas échéant) : **13 rue Raymond Losserand 75014 Paris**

Nature de la structure :

☒ **Association agréée au niveau national**

☐ Association agréée au niveau régional

☐ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

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

Membre de l'Amyloidosis Alliance

Membre de l'Alliance Maladies rares

Membre de Eurordis

Principales activités de votre association ou groupe d'usagers :

- Briser la solitude face à la maladie
- Avancer plus vite vers des traitements
- Contribuer à améliorer la prise en charge médicale et sociale.

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : **AMVUTTRA**

Dénomination commune internationale (DCI) : **vutrisiran**

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

Traitement de l'amylose à transthyrétine de type sauvage ou héréditaire chez les patients adultes présentant une cardiomyopathie.

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

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☒ **Pour une demande d'autorisation d'accès précoce**

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 ?

Les patients atteints d'une amylose à transthyrétine héréditaire avec une cardiomyopathie ont un avenir sombre, et un parcours de vie difficile avec une perte progressive de leur autonomie . Ils savent ce qui leur arrive car la plupart du temps ils ont vu leurs ascendants en mourir. Ils sont lucides sur la dégradation inexorable de leur corps, et l'altération inexorable de leur qualité de vie et de leur espérance de vie.

Les patients atteints d'une amylose à transthyrétine sauvage avec un cardiomyopathie, ont un impact un peu différent, souvent le diagnostic est tardif, ils n'ont aucune connaissance de cette maladie (pas d'histoire familiale), et ils sont très inquiets de leur devenir. Souvent très diminués dans leurs actions quotidiennes.

Voici ce que les patients trouvent quand ils font une première recherche google.

« L'espérance de vie sans traitement est de 3 à 5 ans (moyenne de survie inférieure à 50% à 3 ans). Lorsque le diagnostic est posé, une angoisse supplémentaire s'installe chez les patients et dans les familles car les mois - voire années d'errance - s'imputent sur cette espérance très courte »

Les premiers appels à l'association font souvent référence à ces données dramatiques avec des patients qui pensent disparaître dans les 6 mois à venir.

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

☒ **Non**

☐ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

La qualité de vie et la réponse aux traitements ne doit être évaluée seulement sur un aspect mais sur tous les aspects de la maladie.

Une enquête internationale Amylife menée par l'amyloidosis Alliance est en cours pour mesurer l'impact de la maladie sur la vie quotidienne des patients à travers le monde.

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

Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des « groupes », par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc.

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

- Aspects financiers
- Autres aspects

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

La sollicitation matérielle des aidants est très importante en termes :

- d'aide au quotidien du fait de la limitation de la motricité et de la mobilité et du fait de la fatigue intense du patient et de l'essoufflement
- de soutien dans les différentes consultations et examens, leur planification et leur organisation pour certains.

Ce qui rend la situation particulièrement précaire pour des aidants qui sont eux même âgés et fragiles, comme c'est souvent le cas pour les formes sauvages.

Les enfants adultes deviennent souvent des aidants, avec des difficultés pour la gestion du quotidien.

Elle impacte le cadre de vie et l'organisation de la maison, rendant parfois difficile le maintien à domicile sans aide professionnelle.

Le caractère héréditaire est un fardeau qui pèse sur toute la famille et plus spécifiquement sur les aidants conjoints qui s'angoissent pour leurs enfants .

L'impact sur la vie sexuelle est partagé avec le patient par les aidants conjoints. Face à tous ces fardeaux, beaucoup d'aidants se sentent « au bout du rouleau » tant en termes d'épuisement physique que moral.

Les soignants s'appuient également sur les aidants pour les soins et l'évaluation au quotidien, de même la gestion des agendas de prise de rendez-vous médicaux est souvent à la charge des aidants.

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

Les informations demandées ici sont importantes pour la Commission de la transparence car elle évalue les nouveaux produits comparativement aux options thérapeutiques déjà disponibles. Les avis en vue du remboursement comportent notamment une gradation du progrès thérapeutique apporté par un nouveau médicament au regard des traitements actuellement disponibles ou de la prise en charge habituelle. C'est ce que l'on appelle « l'Amélioration du Service Médical Rendu » (ASMR). L'ASMR comporte cinq niveaux allant de « absente » (ASMR V) à « majeure » (ASMR I).

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

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

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

Dans cette indication, les traitements disponibles sont :

- Vyndaqel (Tafamidis) 61 mg
- Onpattro (Patisiran) en accès compassionnel

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Nous avons la chance actuellement de disposer d'un traitement le Tafamidis 61 mg, qui stabilise les patients répondeurs leur permettant une espérance de vie avec la maladie et sous traitement plus longue.

Le patisiran, offre une alternative pour des patients non répondeurs et qui progressent sous Tafamidis.

Il est donc important de considérer les traitements disponibles dans une stratégie thérapeutique de long terme, qui doit être personnalisée.

Le tafamidis, étant le seul traitement disponible, est un stabilisateur, qui offre une facilité de prise et une bonne tolérance très appréciée des patients, en particulier les patients âgés, malgré son efficacité prouvée, il ne peut répondre au besoin de tous les patients et à toutes les étapes de la maladie.

Le patisiran présentant une option pour les patients qui progressent sous Tafamidis.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Peu d'inconvénients sont rapportés par les patients, mais néanmoins certains patients ne répondent pas aux traitements disponibles, et certains ont des difficultés à avaler les capsules de Tafamidis.

l'administration du Patisiran pour la population concernée par les amyloses cardiaques peut être lourde pour certains patients âgés, la forme IV toutes les 3 semaines combinée à la prémédication peuvent dégrader une qualité de vie déjà précaire et altérer un capital veineux fragile.

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

Un seul traitement et un seul mode d'action ne peut pas couvrir tous les besoins, et certains patients héréditaires ou sauvages progressent inexorablement.

Pour des patients âgés (+80ans), l'impact de la progression de la maladie, tant d'un point de vue cardiaque que systémique, va entraîner une altération importante de leur quotidien et peut rapidement entraîner une impossibilité de maintien à domicile et un placement en structure.

Grâce à l'arrivée du Tafamidis, l'espérance de vie des patients souffrants d'une amylose cardiaque à TTR, s'éloigne de celle de l'histoire naturelle de la maladie.

Néanmoins, les patients vivent plus longtemps avec leur amylose comme c'est le cas pour les amyloses héréditaires neurologiques, et **il est important d'avoir une stratégie thérapeutique à proposer aux patients pour préserver leur qualité de vie et leur autonomie.**

Ce que l'on voit apparaître comme plainte de la part des patients ayant une amylose cardiaque, est une plainte liée à des douleurs dans les membres inférieurs, problème de dos, canal carpien. Certaines publications mettent en évidence au niveau du système nerveux périphérique comme cela est décrit dans les formes héréditaires à prédominance cardiaque. (doi:10.1016/j.clinph.2023.03.204), (ESC Heart Failure 2021; 8: 5501–5512 DOI: 10.1002/ehf2.13652)

Il est donc important pour les patients ne répondant pas d'un point de vue cardiaque et/ou extra cardiaque aux traitements existants et/ou rencontrant des effets indésirables ou des problèmes d'administration, de pouvoir recevoir un autre traitement avec un mode d'administration qui ne contribue pas au fardeau de la maladie.

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.

Il semble que l'indication demandée pour l'accès précoce par le laboratoire soit plus restrictive que celle dans le mail que j'ai reçu pour l'appel à contribution. J'ai donc décidé de répondre sur l'indication la plus large, et en fonction des besoins patients.

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

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

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

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

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

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

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

L'expérience que nous avons de ce traitement vient surtout des patients qui sont traités pour des formes héréditaires neurologiques et mixtes. L'efficacité pour eux est similaire à celle qu'ils avaient avec Patisiran, mais **sans les effets indésirables et la fatigue liés à la prémédication**.

Les patients sont très satisfaits du traitement, **administration simple** sous cutanée (tous les 3 mois) ce qui allège la vie des patients, prenant par ailleurs beaucoup de médicaments et devant faire de fréquentes prises de sang, la **préservation de leur capital veineux est donc un bénéfice**.

la prise de médicament par voie orale est parfois difficile pour des patients âgés et polymédicamentés. L'intervention d'une infirmière à domicile participe au confort de l'administration d'une sous cutanée tous les 3 mois et facilite la vie des aidants.

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 ?

Pas d'inconvénients constatés.

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

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Les améliorations attendues sont :

- La possibilité d'administrer en première intention le traitement le plus adapté au besoin du patient. Le fait d'avoir deux modes d'action différents devrait le permettre.
- Des réponses et une amélioration de la qualité de vie pour les patients non-répondants ou non tolérants à l'autre traitement.
- Un device et un mode d'administration simple pour des patients âgés et fragiles.
- Une évaluation de la réponse qui ne soit pas seulement cardiologique, mais plus systémique en particulier neurologique pour répondre à l'impact de la maladie sur la qualité de vie des patients.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

La maladie est reconnue comme grave et invalidante sans possibilité de retour à un état antérieur.

Il est donc important de considérer la prise en charge comme une course contre la montre pour maintenir les fonctions du patient, le stabiliser grâce aux traitements et lui assurer une qualité de vie acceptable et maintenir le plus longtemps possible les patients à domicile en autonomie.

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

Tous les patients ne répondent pas au traitement actuellement disponible, les patients sont diagnostiqués plus précocement grâce à des campagnes de sensibilisation et de formation des médecins par les centres de référence.

Il est donc important pour les patients à des stades précoces de bien monitorer la réponse au traitement pour les maintenir en stade précoce le plus longtemps possible, éventuellement en changeant de traitement si besoin.

La progression de la maladie doit être considérée d'un point de vue systémique et non seulement cardiologique. Pour des patients âgés il faut considérer leur état général et leur capacité à maintenir leur autonomie et celle de leur aidant.

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

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

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment² sur deux points :

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

- Un mode d'action différent de celui du traitement disponible dans cette indication.
- Une efficacité et une tolérance prouvée dans les formes héréditaires neurologiques en vie réelle et des essais cliniques probants.
- Un mode d'administration qui permet de proposer une alternative à la forme orale, ou IV.
- Un contact avec un professionnel de santé tous les 3 mois, qui participerait au suivi.

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 ».

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

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

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

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

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

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

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

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

Il est important de collecter les informations sur la qualité de vie, l'impact du traitement sur la fatigue (besoin de faire plusieurs siestes par jour)

Tolérance ,facilité d'administration, douleurs

Efficacité sur les gestes du quotidien (illustrant à la fois l'impact CM et PN)

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. ?)

Recueil au domicile par un soignant, il faut éviter de solliciter les aidants une fois de plus.

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

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

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.

Le PUT-RD n'est pas publié sur notre site. La HAS peut décider de le transmettre tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

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

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 Également appelées « variables d'intérêt »

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition

La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'usagers 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 ?

☒ X Oui

☐ Non

Pour quelles raisons ?

Apporter des témoignages et partager la complexité à laquelle font face les patients atteints d'amyloses cardiaques.

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



« L'espérance de vie sans traitement est de 3 à 5 ans. Lorsque le diagnostic est posé, une angoisse supplémentaire s'installe chez les patients et dans les familles car les mois - voire années d'errance - s'imputent sur cette espérance très courte »

Les premiers appels à l'association font souvent référence à ces données dramatiques avec des patients qui pensent mourir dans les 6 mois à venir.

Un seul traitement et un seul mode d'action ne peut pas couvrir tous les besoins, et certains patients héréditaires ou sauvages progressent inexorablement.

Pour des patients âgés (+80ans), l'impact de la progression de la maladie, tant d'un point de vue cardiaque que systémique, va entraîner une altération importante de leur quotidien et peut rapidement entraîner une impossibilité de maintien à domicile et un placement en structure.

grâce à l'arrivée du Tafamidis, l'espérance de vie des patients souffrants d'une amylose cardiaque à TTR, s'éloigne de celle de l'histoire naturelle de la maladie (3 à 5 ans, **rendant nécessaire d'avoir une stratégie thérapeutique de plus long terme et donc l'accès à des médicaments de modes d'action différents.**

Pour les patients diagnostiqués à des stades précoces il faut choisir le traitement le plus adapté et monitorer la réponse au traitement pour les maintenir en stade précoce le plus longtemps possible. La progression de la maladie doit être considérée d'un point de vue systémique et non seulement cardiologique.

L'expérience que nous avons de ce traitement vient surtout des patients qui sont traités pour des formes héréditaires neurologiques et mixtes. L'efficacité pour eux est similaire à celle qu'ils avaient avec Patisiran, mais sans les effets indésirables et la fatigue liés à la prémédication.

Limiter la prise de médicament par voie orale est un avantage pour des patients âgés et polymédicamentés

L'administration simple sous cutanée(tous les 3 mois) allège la vie des patients et préserve leur capital veineux. L'intervention d'une infirmière à domicile participe au confort de l'administration.

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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Nous avons utilisé le résultat de témoignages patients et de groupe de parole ainsi que d'une enquête réalisée en 2029.

Nous recevons environ 50 appels de patients par moi pour partager leurs problématiques. C'est échanges nourrissent notre imprégnation du quotidien des patients et des aidants.

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 ?

Membres du CA, Directeur et bénévoles.

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 ?

5 heures

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

