
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	9
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	10
1.3. Le médicament évalué	12
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	12
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	13
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	13
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	13
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	14
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	14
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	14
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	15
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	15
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	16
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	17
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	17
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	19
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	20
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	21
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	22

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 Française de l'Eczéma

Site internet : associationeczema.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

15 rue du Val 35600 REDON

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 :

Membre de la Fédération Française de la Peau

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

ANZUPGO

Dénomination commune internationale (DCI) :

DELGOCITINIB

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

Traitement de l'eczéma chronique des mains modéré à sévère chez les adultes pour lesquels les dermocorticoïdes sont inadéquats ou inappropriés.

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'eczéma chronique des mains a des impacts importants sur la qualité de vie des patients. On peut classer ces impacts en deux catégories : impacts fonctionnels et impacts émotionnels.

Impacts fonctionnels :

- Les activités de la vie quotidiennes peuvent être empêchées. L'eczéma au niveau des mains est douloureux, et il peut empêcher d'accomplir certaines tâches ménagères (vaisselle, ménage), de pratiquer certains sports ou loisirs (loisirs créatifs par exemple). Dans les cas les plus sévères, saisir des objets, devient impossible, ce qui représente un véritable handicap et atteint l'autonomie des patients. Selon l'étude BoHEM¹ réalisée

¹ *Méthodologie BoHEM : première étude qui permet d'évaluer le fardeau des patients atteints d'ECM dans leurs gestes quotidiens, leurs relations sociales et affectives et leur vie professionnelle. Enquête réalisée entre novembre 2017 et août 2018, menée par questionnaires en ligne auprès de 280 patients adultes atteints d'ECM (15 ans et plus), adhérents de l'Association Française de l'Eczéma.

auprès de nos adhérents en 2017/2018 : 85% des personnes concernées déclarent avoir, parfois, souvent ou en permanence des difficultés à accomplir les gestes de vie courante, comme cuisiner (83%), se laver, se maquiller ou se raser (85%), ou encore assurer l'entretien de son logement (87%), conduire une voiture (70%) ou s'habiller (67%). Le fardeau de la maladie a également été évalué au niveau international par l'étude CHECK² qui a montré que 36,0% des patients ont dû modifier leurs activités quotidiennes, tâches domestiques ou loisirs.

- L'impact sur la vie professionnelle est également très important : 83% des patients interrogés lors de l'étude BoHEM déclarent une perturbation des activités professionnelles. Une étude très récente³ a montré que l'eczéma chronique des mains a un impact socio-économique majeur, entraînant des absences au travail et des changements de carrière. Les hommes et les patients avec des formes sévères sont particulièrement affectés. D'après cette étude, 19,5 % des patients ont dû changer de carrière, 12,5 % ont eu des difficultés à trouver un emploi, et 20,5 % ont rapporté des absences au travail, avec une durée moyenne d'arrêt de travail de 1,8 jour. Les facteurs prédictifs d'absentéisme étant : Sexe masculin, localisation palmaire/digitale, douleur et charge de maladie plus élevée. Cette même étude a démontré que la sévérité de la maladie et l'atteinte unilatérale augmentent significativement le fardeau et l'impact sur la qualité de vie. Les hommes présentent des scores plus élevés de BoHEM et DLQI.

Impacts émotionnels :

- Les mains, comme le visage, sont des zones très visibles du corps. Les patients peuvent donc subir de la stigmatisation, avoir honte de l'état de leurs mains, et par conséquent s'isoler socialement. Toujours selon l'étude BoHEM réalisée en 2017/2018 : 92% des patients sont gênés, parfois, souvent ou en permanence, par le regard des autres sur leurs mains qu'ils préfèrent cacher (86%). 82% vont jusqu'à éprouver un sentiment de honte !
- Les mains sont les organes du toucher, de la relation. Pour certains patients, c'est toute la vie affective et familiale qui peut être impactée. L'aspect altéré des mains rend les relations sociales difficiles selon 72% des patients interrogés par l'étude BoHEM et a des répercussions sur la sexualité pour 69% d'entre eux.

Nous avons compilé ci-dessous quelques témoignages de patients qui nous sont envoyés sur nos réseaux sociaux, ou par email quand les patients nous contactent pour nous demander de l'aide. Ces témoignages montrent les forts impacts fonctionnels et émotionnels de la maladie, le désarroi de certains patients qui souffrent depuis des années, cherchent des solutions et sont parfois prêts à changer de vie dans l'espoir d'améliorer l'état de leurs mains :

« Je vous assure que ça fait mal, on se gratte sans le vouloir et qu'est ce que ça brûle ...moi j'ai trouvé un petit moyen de me soulager , je suis obligée de me bander les mains tous les jours à la maison »

² .N. Crépy, S. Molin, A.M. Giménez-Arnau, C. Apfelbacher, L. Brignoli, A. Morillo, E. Venborg, J.M. Norlin, A. Bewley, M.C. Fargnoli, Conséquences de l'eczéma chronique des mains sur les activités quotidiennes, de loisirs et professionnelles : résultats de l'étude internationale CHECK, Annales de Dermatologie et de Vénéréologie - FMC, Volume 4, Issue 8, Supplement 1, 2024, Pages A348-A349, ISSN 2667-0623,

³ Skayem C, Salle R, Marquie A, Merhand S, Taieb C, Halioua B, Richard MA. Perceived stress, disease burden and quality of life in patients with chronic hand eczema: A French national study. J Eur Acad Dermatol Venereol. 2024 Jun;38(6):e521-e524. doi: 10.1111/jdv.19714. Epub 2023 Dec 26. PMID: 38147441

« J'ai un eczéma chronique de mains depuis plusieurs années maintenant (...), je suis quasiment convaincu désormais que c'est la dureté de l'eau qui me rends les mains très sèches mais aussi avec des micro coupures et crevasses (...) L'amour propre aussi en prends un coup, car ce problème met des barrières partout, sur le plan professionnel et social. J'envisage donc sérieusement de quitter ma ville, ma région pour la Bretagne par exemple où l'eau est plus douce et moins calcaire, et où il n'est pas nécessaire d'avoir un adoucisseur d'eau. »

« Je suis atteinte d'eczéma depuis toute petite, (...) et depuis un peu plus d'un an maintenant sur les mains. C'est douloureux, disgracieux et ça devient handicapant dans la vie de tous les jours. »

« Je souffre d'eczéma aux mains et aux pieds depuis plus de 10 ans. Ma souffrance est telle que je lorsque je suis en crise je ne peux parfois pas marcher ou saisir des objets. »

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

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

DLQI (Dermatology Life Quality Index), POEM (Patient-Oriented Eczema Measure), ADCT (Atopic Dermatitis Control Tool) , NRS (échelle d'évaluation numérique du prurit), PO-SCORAD (Patient-Oriented SCORAD), ABS-A (Atopic Dermatitis Burden Scale for Adults)

Un questionnaire est tout particulièrement pertinent car spécifique à l'ECM : Burden of Hand Eczema (BoHEM) qui a été développé en partenariat avec l'association française de l'eczéma et qui a été publié dans la prestigieuse revue américaine de dermatologie [Maccari F, Ezzedine K, Fougerousse AC, Mérhand S, Bordet C, Jacobzone C, Taieb C. Building a scale for measuring burden of hand eczema: BoHEM. J Am Acad Dermatol. 2019 Jun;80(6):1784-1785. doi: 10.1016/j.jaad.2018.12.036. Epub 2018 Dec 23. PMID: 30586614].

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*

⁴ 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.

- 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 maladie impacte très souvent aussi les proches du patient.

Quand les impacts fonctionnels sont importants, le patient perd en autonomie, et ne peut plus accomplir certaines tâches domestiques, et a besoin d'aide pour accomplir un certain nombre de tâches comme s'habiller, cuisiner, se laver, se raser, etc... Les proches deviennent alors des aidants, ce qui peut alourdir leur quotidien.

Les impacts émotionnels peuvent aussi atteindre les proches et l'équilibre de la famille et/ou du couple, notamment quand le patient se sent honteux, déprimé, ne veut plus sortir.

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.

Le traitement de première intention pour l'eczéma chronique des mains est le traitement local par dermo-corticoïdes de différentes puissances, mais le plus souvent de classe forte à très forte pour les formes modérées à sévères, et parfois sous occlusion (bandages occlusifs humides).

Les inhibiteurs de la calcineurine topiques peuvent également être utilisés.

En cas d'échec ou de réponse insuffisante du traitement local, un traitement systémique peut être proposé :

- Photothérapie.
- Rétinoïde systémique (alitretinoïne- TOCTINO) indiqué chez l'adulte atteint d'eczéma chronique sévère des mains, ne répondant pas au traitement par dermocorticoïdes puissants
- Et uniquement si l'eczéma chronique des mains s'inscrit dans le cadre d'une dermatite atopique : traitements de biothérapie (Dupilumab, Tralokinumab).

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les traitements actuellement disponibles peuvent soulager un grand nombre de patients.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les dermocorticoïdes utilisés au long cours, comme c'est souvent le cas dans le cas de l'eczéma chronique des mains, ont de nombreux effets indésirables potentiels, en premier lieu l'atrophie et la xérose cutanée. Il existe en outre un risque de transfert des dermo-corticoïdes puissants au niveau du visage et des yeux, quand les patients touchent ces zones avec les mains traitées.

Les inhibiteurs de la calcineurine topiques ont une galénique peu agréable et peuvent être douloureux à l'application : sensations de brûlures, démangeaisons très fortes. Ces effets entraînent souvent un abandon du traitement par les patients.

Toctino est un traitement qui présente de nombreux effets secondaires nécessitant un suivi du patient pour vérifier la tolérance du produit. Son effet tératogène en interdit l'utilisation pendant la grossesse et l'allaitement et ses conditions de prescriptions aux femmes en âge de procréer sont très strictes.

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

L'arsenal de traitements actuellement disponible est trop réduit pour couvrir tous les besoins des patients souffrant de formes modérées à sévères d'eczéma chronique des mains. Les formes modérée notamment, ont très peu de réponse en cas d'échec des dermocorticoïdes puisque Toctino ne peut être prescrit qu'aux formes sévères.

Du fait de l'impact majeur de la maladie sur la qualité de vie des patients, et de la chronicité de la maladie, il est indispensable d'étoffer l'arsenal thérapeutique avec des traitements efficaces et bien tolérés.

1.3. Le médicament évalué



Les catégories ci-dessous sont proposées à titre indicatif, elles peuvent être utilisées dans certaines questions. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients principaux qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
 - la qualité de vie (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives ;*
 - la qualité de vie de ses proches ;*
 - l'usage de ce traitement ;*
 - le parcours de santé et de vie du patient ;*
 - autres : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.*
-

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

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

Le libellé de l'indication nous semble adéquat.



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.

Nous avons consulté les publications disponibles au grand public concernant les essais cliniques DELTA-1, DELTA2⁵ et DELTA-3⁶. Ces publications démontrent une efficacité du traitement sur plusieurs semaines, sans effets indésirables notoires. Ces résultats sont très encourageants pour les patients, qui sont à la recherche de traitements sûrs et efficaces pour les soulager.

Nous avons de plus interrogé plusieurs médecins investigateurs ayant participé à ces essais cliniques. Nos questions portaient sur leurs observations globales, et les ressentis de leurs patients. Les principales améliorations constatées sont :

- Différence nette d'efficacité chez les patients en échec des autres traitements
- Galénique agréable et pas d'effets désagréables ou douloureux à l'application
- Bonne tolérance
- Effet rémanent (pouvant durer plusieurs semaines, ce qui n'était pas le cas avec les dermocorticoïdes) si arrêt du traitement et bonne efficacité dès la reprise du traitement ce qui permet un traitement séquentiel, en cas de besoin

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 ?

5 Efficacy and safety of delgocitinib cream in adults with moderate to severe chronic hand eczema (DELTA 1 and DELTA 2): results from multicentre, randomised, controlled, double-blind, phase 3 trials. Bissonnette, Rober tLynde, Charles et al. The Lancet, Volume 404, Issue 10451, 461 - 473

6 M.N. Crépy, M. Gooderham, S. Molin, R. Bissonnette, M. Worm, L. Stingeni, R.B. Warren, S. Schliemann, C.L. Balita-Crisostomo, M.L. Oesterdal, T. Agner, Efficacité et sécurité d'emploi du delgocitinib en crème à 36 semaines chez les adultes atteints d'eczéma chronique des mains : résultats de l'essai d'extension de phase 3 DELTA-3, Annales de Dermatologie et de Vénéréologie - FMC, Volume 4, Issue 8, Supplement 1, 2024, Pages A343-A344, ISSN 2667-0623,

Les médecins investigateurs que nous avons interrogés ne nous ont pas évoqué d'inconvénients liés à l'usage de ce médicament lors des essais.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

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 notamment⁷ 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.

⁷ 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 fin⁸.



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,

⁸ 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 :

Adresse mail :

Téléphone :

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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.

L'eczéma chronique des mains est une maladie qui a un fort impact fonctionnel et émotionnel sur la qualité de vie des patients, que notre association a contribué à mesurer à travers des études et des publications. Il représente pour un grand nombre d'entre eux un véritable handicap, allant jusqu'à l'incapacité de se servir de ses mains, notamment dans sa forme modérée à sévère, pour laquelle il existe très peu de réponses thérapeutiques.

Les traitements existants ne soulagent qu'une partie des patients, et présentent des inconvénients concernant leur tolérance à long ou court terme, ce qui est un problème dans cette maladie chronique nécessitant souvent un traitement au long cours.

Les patients ont donc besoin que l'arsenal thérapeutique qui peut leur être proposé pour soulager leurs symptômes et retrouver une qualité de vie acceptable soit étoffé.

Le Delgocitinib, d'après les publications des études cliniques, et les retours que nous avons recueillis auprès de plusieurs médecins investigateurs, nous semble être un traitement sûr et efficace, très attendu par les patients.

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 ?

Résultats des études :

BoHEM (Méthodologie BoHEM : première étude qui permet d'évaluer le fardeau des patients atteints d'ECM dans leurs gestes quotidiens, leurs relations sociales et affectives et leur vie professionnelle. Enquête réalisée entre novembre 2017 et août 2018, menée par questionnaires en ligne auprès de 280 patients adultes atteints d'ECM (15 ans et plus), adhérents de l'Association Française de l'Eczéma).

et CHECK (N. Crépy, S. Molin, A.M. Giménez-Arnau, C. Apfelbacher, L. Brignoli, A. Morillo, E. Venborg, J.M. Norlin, A. Bewley, M.C. Fagnoli, Conséquences de l'eczéma chronique des mains sur les activités quotidiennes, de loisirs et professionnelles : résultats de l'étude internationale CHECK, Annales de Dermatologie et de Vénéréologie - FMC, Volume 4, Issue 8, Supplement 1, 2024, Pages A348-A349, ISSN 2667-0623)

Et compilation de quelques témoignages significatifs de patients reçus sur nos réseaux sociaux ou par email.

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

Nous avons consulté les publications disponibles concernant les études cliniques DELTA-1, DELTA-2 et DELTA-3, et interrogé plusieurs médecins investigateurs ayant participé à ces essais

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

Stéphanie MERHAND, patiente et fondatrice de l'Association

Marjolaine HERING, patiente, membre de l'Association et Dr en Pharmacie

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 ?

Le temps nécessaire a été d'environ 8 heures.

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

non

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

