
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	7
1. Questionnaire – Partie A	8
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	8
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	8
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	10
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	12
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	15
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	15
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	15
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	15
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	16
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	16
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	17
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	18
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	18
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	20
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	21
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	22
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	23

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) :

Vaincre la Papillomatose Respiratoire Récurrente (Vaincre PRR)

La PRR (papillomatose respiratoire récurrente) est une maladie due à des papillomavirus (HPV6 et HPV11 pour la plupart, installés dans le larynx et à l'origine de papillomes venant obstruer les voies respiratoires). La PRR est une maladie rare et orpheline mais il existe une prévention efficace, la vaccination contre les HPV 6 et 11.

Ceci explique notre intérêt pour cette extension de la vaccination par le Gardasil nonavalent aux femmes de 19 à 26 ans en tant que prévention de la contamination du bébé pendant la grossesse ou lors de l'accouchement.

Site internet :

<https://www.vaincreprrr.fr/>

Adresse postale (le cas échéant) :

10 rue Guillaume Tell
91140 Villebon sur Yvette

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☒ Association non agréée

☒ Autre (préciser) :

Association Loi 1901 reconnue d'intérêt public.

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

Vaincre PRR est membre de Alliance Maladies Rares, Eurordis et du collectif Demain sans HPV.

Informations sur le financement de votre structure

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

☒ Oui

☐ Non



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

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

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : 4294,71€ _____
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 652,00€ _____
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 6053,82€ _____
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 4825,00€ _____

Tableau 1 : Sources de financement

Pas de financement 2024 ou 2025 par des organismes ou entreprises extérieures à l'association.

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Vaccin Gardasil nonavalent

Dénomination commune internationale (DCI) :

Je ne sais pas....

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Compte tenu de la composition du Gardasil nonavalent, ce vaccin assure la prévention d'une contamination du bébé lors de la grossesse ou lors de l'accouchement par les HPV 6 et 11 responsables des condylomes mais aussi de la papillomatose respiratoire récurrente, maladie rare et orpheline. L'efficacité de cette prévention est rapportée dans des publications à l'étranger, en particulier en Australie et aux USA après l'usage du vaccin Gardasil quadrivalent (HPV 16, 18, 6 et 11). Elle est également signalée par l'EMA :

Prevention of juvenile-onset recurrent respiratory papillomatosis (JoRRP) by vaccination of girls and women of childbearing potential

JoRRP is caused by upper airway infection primarily with HPV types 6 and 11, acquired vertically (mother-to-child) during childbirth. Observational studies in the US and Australia have shown that the introduction of qHPV vaccine since 2006 has led to declines in the incidence of JoRRP at population level. (https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/gardasil-9-epar-product-information_en.pdf en page 16)

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

Nécessité d'une extension de la prise en charge pour les femmes après 19 ans et jusqu'à 26 ans, comme pour les HSH, mettant ainsi fin à une discrimination particulièrement mal venue en ce qui nous concerne.

☐ 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*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

1°) Chez l'enfant :

- *Impact sur la croissance et le développement psychomoteur –*

Les formes sévères ou agressives de PRR sont responsables de troubles de l'alimentation (anorexie du fait de difficultés à la déglutition, vomissements lors des quintes de toux...). Au fil du temps, elles peuvent aussi retentir sur la croissance du fait de l'insuffisance respiratoire chronique.

La multiplication des interventions chirurgicales sous anesthésie générale (aussi souvent que nécessaire, parfois tous les mois) pour assurer la liberté des voies aériennes et l'insuffisance respiratoire chronique ne peuvent que retentir sur le développement psychomoteur de ces enfants.

- *Scolarité,*

Des enfants nous ont rapportés avoir été mis à l'écart par les autres enfants dès la maternelle et au primaire, peut-être sur les conseils de parents mal informés et craignant une contamination de leur propre enfant (chose entendue par une maman d'enfant PRR+). Au collège, le problème est différent puisque là, c'est l'enseignant qui peut, sinon ignorer l'enfant, du moins le solliciter beaucoup moins que les autres, pour éviter que la voix abîmée de cet enfant ne déclenche un chahut en classe, ou parce que cet enfant est parfois aphone.

- *Activités sportives et ludiques,*

Les professeurs d'EPS ont parfois du mal à accepter que l'enfant soit moins performant d'une semaine à l'autre du fait de l'évolution de l'obstruction progressive et de la gêne respiratoire.

- *Impacts psychologiques*

L'impact psychologique est très variable, selon l'enfant et selon ses parents. Un enfant PRR+ peut faire de sa maladie une force, tout comme il peut se laisser écraser par celle maladie chronique à évolution capricieuse.

- *Douleur*

Principalement en post-opératoire pour quelques jours.

- *Fatigue intellectuelle ou physique*

Nous n'avons pas retrouvé d'études sur ce sujet. Les capacités de résilience de nos enfants sont extrêmement variables (l'entourage familial constitue un appui très fort), tout comme leurs capacités intellectuelles.

2°) Chez l'adulte

- *Fatigue intellectuelle ou physique*

Comment avoir l'esprit libre quand on doit vivre avec une maladie chronique aussi capricieuse ? Pour la fatigue physique, voir ci-dessous les différents items.

- *Activités de la vie quotidienne*

La gêne respiratoire peut venir compliquer certaines activités (faire les courses, gros ménage, jardinage...), surtout en présence d'enfants (porter un enfant et un sac, aphonie et rappel d'un enfant qui s'éloigne trop...), utilisation du téléphone...

- *Mobilité/déplacement*

Gêne respiratoire et place de stationnement éloignée du lieu de RDV, surtout en l'absence d'une reconnaissance MDPH (parfois difficile à obtenir pour les adultes dans certains départements)

- *Vie professionnelle – Capacité de travail*

Les atteintes de la voix compliquent toute relation client ou public (accueil au comptoir ou par téléphone, enseignement, journalisme radio...) ainsi que, pour un cadre, les rapports avec l'équipe sous ses ordres. La gêne respiratoire chronique ou récidivante est parfois difficilement compatible avec un poste de travail nécessitant des efforts physiques. Pour mémoire, une « reconversion bien encadrée » de conseiller bancaire au métier d'apiculteur a échoué face à la manipulation fréquente de la cinquantaine de ruches nécessaires pour pouvoir vivre de son métier.

- *Vie affective*

Possibles difficultés au sein du couple : crainte d'une contamination, place prise par la maladie dans la vie du couple ou dans la vie des parents. Nous avons plusieurs « mamans solos » dans nos adhérents suite au départ du père plus ou moins rapidement après le diagnostic.

- *Vie sexuelle*

Les patients adultes apprennent à s'adapter aux possibilités respiratoires du moment.

- *Vie sociale*

Difficultés relationnelles au sein de la famille élargie qui ne comprend pas l'absence de traitement et la multiplication des interventions chirurgicales, et multiplie les propositions mal venues (de médecins à guérisseurs, en passant par des traitements non reconnus).

Possibles ruptures d'amitiés de longue date par incompréhension et crainte de la maladie (contamination des amis ou de leurs enfants, difficultés de la communication orale, lien téléphonique perturbé par l'aphonie...)

– *Aspects financiers*

Les soucis financiers sont nombreux ; absentéisme au travail et jours de carence, reste à charge si PRR non prise en charge en ALD (ALD rarement refusée chez les enfants mais refus non rare chez des adultes (en fonction du médecin conseil...)), dépenses pour essais de traitements non officiels, soins en médecine douce ou soins atypiques (ostéopathie, magnétisme...)

– *Autres aspects*

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, mais nous savons qu'il en existe pour avoir pris connaissance d'1 ou 2 articles sur le sujet qualité de vie et leurs conclusions, conclusions rapportées dans notre avis sur l'extension de la vaccination au garçons.

☐ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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*

¹ Parfois appelés PROMs. Les 'Patient reported outcomes measures' sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

- *Impacts psychologiques*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

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

– *Fatigue intellectuelle ou physique*

Chez la mère d'enfant PRR+, fréquent sentiment de culpabilité concernant la contamination de son enfant à la naissance. Sentiment de culpabilité parfois aggravé par la maladresse de la formulation des réponses de certains médecins aux questions pourquoi, comment... posées par des parents choqués par le diagnostic et l'annonce de la récurrence.

La gestion des rendez-vous de prise en charge de la pathologie, avec nécessité de protéger la fratrie, complique la vie familiale, particulièrement quand ces RDV sont nombreux et qu'il n'y a pas de soutien familial proche par les grands parents.

– *Activités de la vie quotidienne*

Les perturbations sont très variables selon les parents et leur compréhension de la maladie et de son évolution au fil du temps.

– *Mobilité/déplacement*

Perturbations très variables selon les parents et leur compréhension de la maladie et son évolution. La carte d'urgence pour la PRR a élargi le choix des destinations de vacances familiales.

– *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille*

Sans objet pour la PRR.

– *Vie professionnelle – Capacité de travail*

Chez le jeune enfant, la multiplication des interventions est responsable d'un absentéisme important d'un des deux parents (le plus souvent la mère). Dans certains métiers, cet absentéisme peut entraîner la perte d'emploi pour cette mère ou la nécessité d'une reconversion, nouveau traumatisme après celui du sentiment de culpabilité concernant la contamination de son enfant à la naissance.

– *Vie affective*

Tout dépend de la place que la maladie va finir par occuper au sein du couple pour les patients adultes, ou de la famille pour les patients enfants.

– *Vie sexuelle*

Chez les adultes, tout dépend de la bonne compréhension de la maladie et la place qu'elle va occuper au sein du couple. La crainte non réaliste d'une contamination a pu conduire à une séparation ou un divorce pour certains de nos adhérents.

– *Vie sociale*

Nos adhérents nous parlent de rupture avec des amis de longue date, avec des membres de la famille, par crainte de la maladie ou incompréhension de son évolution capricieuse et de la répétition des chirurgies.

– *Impacts psychologiques*

Fréquent sentiment de culpabilité pour la mère se sentant responsable de la contamination de son enfant à la naissance. Impact qui peut être accentué par l'isolement social ou affectif.

– *Aspects financiers*

Diminution des revenus du foyer en cas de perte d'emploi pour cause d'absentéisme de la mère accompagnant son enfant à l'hôpital.

Reconversion professionnelle parfois de cette mère pour un emploi aux contraintes plus souples mais parfois moins bien rémunéré.

– *Autres aspects*

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.

La vaccination par le Gardasil nonavalent interrompt la circulation des HPV 6 et 11, donc les condylomes visibles ou non, et constitue ainsi la prévention de la PRR, maladie rare et orpheline.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Seule la chirurgie ORL, répétée autant que de besoin, permet de rétablir la perméabilité des voies aériennes.

Pour les formes agressives (plus de 4 chirurgies sous anesthésie générale par an), des essais de médicaments adjuvants sont tentés en complément de la chirurgie et en espérant élargir l'espace-temps entre deux chirurgies (certains jeunes enfants sont opérés toutes les 5 à 6 semaines). Parmi les plus utilisés ces trente dernières années, on retrouve l'interféron, le cidofovir et aujourd'hui le bévaccinum qui ne soigne pas mais ralentit la repousse des papillomes. Là encore, difficile avec ce médicament anti-métastases, de ne pas faire un parallèle avec les différents cancers HPV induits.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

La PRR s'installe préférentiellement sur les cordes vocales et à proximité. Elle altère la voix de façon plus ou moins importante (aphonie, raucité, voix suraiguë...). La chirurgie répétée finit par abîmer le tissu des cordes vocales et de l'environnement immédiat, aggravant de façon irrémédiable cette voix déjà anormale.

Les anesthésies générales répétées des jeunes enfants inquiètent les parents.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

1.3. Le médicament évalué



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

- l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
- la qualité de vie (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, 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.

Pour notre association Vaincre PRR, l'extension de la prise en charge de la vaccination contre les HPV par le Gardasil nonavalent chez les jeunes femmes âgées de 19 à 26 ans est une absolue nécessité pour la prévention de la papillomatose respiratoire récurrente puisque cette vaccination concerne de futures mamans. Cette extension devrait concerner également les hommes âgés de 19 à 26 ans pour renforcer l'interruption de la circulation des HPV 6 et 11, et aussi parce qu'ils sont de futurs papas susceptibles de contaminer leur compagne non vaccinée (vous le savez, les causes de cette absence possible de vaccination sont multiples et plurifactorielles).

Pour affirmer cela, nous nous appuyons sur les données retenues par l'EMA après les publications australiennes et américaines confirmant l'effet préventif de la vaccination anti HPV quadrivalent sur l'incidence de la PRR dans ces pays ;

Prevention of juvenile-onset recurrent respiratory papillomatosis (JoRRP) by vaccination of girls and women of childbearing potential

JoRRP is caused by upper airway infection primarily with HPV types 6 and 11, acquired vertically (mother-to-child) during childbirth. Observational studies in the US and Australia have shown that the introduction of qHPV vaccine since 2006 has led to declines in the incidence of JoRRP at population level. (https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/gardasil-9-epar-product-information_en.pdf en page 16)



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

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

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

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

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

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



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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Voir les données EMA et les publications australiennes et américaines sur l'efficacité de la vaccination anti papillomavirus sur l'évolution de l'incidence de la PRR dans ces pays.

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 ?

Frères et sœurs de nos petits malades sont bien entendu vaccinés en temps voulu par le Gardasil nonavalent, ainsi que leurs cousins et cousines, et les enfants des amis restés fidèles aux parents. Nous n'avons pas remarqué d'inconvénient particulier.

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 ?

La prévention résout le problème de l'absence de thérapeutique réellement efficace.

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 ?

Pas de crainte !

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 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).*

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.

² 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 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,

³ 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'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 ?

☒ Oui

☐ Non

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

Nom – Prénom : PETIT LE BÂCLE Colette

Adresse mail : colette.lebacle@vaincreprf.fr

Téléphone : 06 89 32 95 74

Pour quelles raisons ?

Nous souhaitons donner de la visibilité à cette maladie. La PRR ne figure pas dans le dossier Papillomavirus de Santé Publique France, pas même sous la forme d'une citation du nom de cette maladie, et elle figure si peu dans le dossier papillomavirus de l'INCa. Cette maladie rare liée à des papillomavirus est invisibilisée dans ces deux grands dossiers sur les pathologies liées aux papillomavirus.

La PRR est une maladie qui n'est pas un cancer mais qui « pourrait la vie » disent nos adolescents et constitue un handicap variable avec l'âge mais bien réel, sans compter les risques de complications cancéreuses sur les lésions de PRR bas situées (trachée, bronches et tissu pulmonaire).

Nos chirurgiens ORL ne parlent jamais de guérison mais de rémission, comme pour un cancer, et conseillent un suivi annuel à vie, comme pour un cancer.

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.

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...

La voix « bizarre » ou l'aphonie sont un véritable handicap pour les apprentissages en milieu scolaire dès la petite enfance.

La multiplication des interventions est responsable d'un absentéisme important à l'école mais aussi pour un des deux parents (le plus souvent la mère). Cet absentéisme peut entraîner la perte d'emploi pour cette mère, nouveau traumatisme après celui du sentiment de culpabilité concernant la contamination de son enfant à la naissance.

Chez l'adulte, cette voix « bizarre » peut contraindre à une reconversion professionnelle.

Pour les moins résiliants, la PRR est parfois la cause d'une désinsertion sociale plus ou moins prononcée.

La crainte de la maladie entraîne parfois une rupture du couple ou une rupture avec des amis de longue date.

- Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...

La PRR est une maladie orpheline. Seule la chirurgie sous anesthésie générale permet de rétablir la perméabilité des voies respiratoires.

–

Le médicament étudié répond pleinement aux besoins et attentes des patients parce que ...

Face à cette maladie orpheline, ses dégâts chez l'enfant et chez l'adulte, et le coût de sa prise en charge, **la prévention la plus large est absolument nécessaire.**

C'est pourquoi notre association s'était déjà manifestée lors de l'enquête pour l'extension de la vaccination anti-papillomavirus aux garçons.

- Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

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)

L'extension de la vaccination aux jeunes femmes de 19 à 26 ans est pour nous un impératif afin de pouvoir espérer voir disparaître cette fichue maladie rare terriblement handicapante pour les enfants.

Nous n'avons pas voulu parler de finances jusque là mais la question est bien sûr sous-jacente.

La prévention par la vaccination a un coût, certes. Mais combien coûte la prise en charge chirurgicale récurrente d'une Papillomatose Respiratoire Récurrente en France ?

Combien coûte la prise en charge des cas de lésions bas situées et leurs complications en cancers bronchopulmonaires ? Combien coûte à la société le décès d'un jeune de 20 à 30 ans suite à ce cancer ?

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 ?

Connaissance expérientielle personnelle de la maladie en tant que mère d'un fils décédé à l'âge de 30 ans de complications cancéreuses de ses lésions pulmonaires de papillomatose respiratoire récurrente. Enfant adopté, 25 ans de vie au quotidien avec cette maladie, documentation sur la maladie et l'évolution de la prise en charge via PubMed ou les médecins en charge du fils (Pr Van den Abbeele et Dr Martine François -Robert Debré).

Connaissance expérientielle associative par le partage d'expérience avec nos adhérents, les conseils et soutien après le diagnostic initial ou celui des complications.

Veille PubMed accentuée sur les papillomavirus et la PRR depuis le décès de mon fils et la création de l'association. Lecture régulière de nombreux articles, participation à des réunions scientifiques et à quelques congrès Eurogin, contacts répétés avec les experts de cette maladie (en France les Pr Nicolas Le Boulanger à Necker référent national pour les cas pédiatriques et Pr Cadranel à Tenon référent national pour les cas adultes, à l'étranger Pr Graig Derkay, Butchinski et Seth Pransky, et maintenant Simon Best pour les USA, Pr Dikkers pour les Pays-Bas) et avec le centre de référence des papillomavirus

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

Pas de méthode particulière sinon une grande disponibilité avec une écoute attentive des familles d'enfants et des adultes atteints d'une PRR. Nous sommes une petite association avec souvent des liens très forts avec nos adhérents, en particulier dans les premiers temps qui suivent le choc de l'annonce du diagnostic.

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

Notre trésorière pour les données sur le budget et discussion préalable avec notre présidente avant de répondre à ce questionnaire.

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

Pas d'aide extérieure sinon la connaissance du vécu de nos adhérents et nos partages au sein du conseil d'administration.

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

Plus de 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

