

---

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

---

|                                                                                                                              |           |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| <b>Introduction</b>                                                                                                          | <b>3</b>  |
| <b>Note importante</b>                                                                                                       | <b>4</b>  |
| <b>Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.</b>                                               | <b>5</b>  |
| <b>Médicament sur lequel porte cette contribution</b>                                                                        | <b>6</b>  |
| <b>1. Questionnaire – Partie A</b>                                                                                           | <b>7</b>  |
| 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)                                               | 11        |
| 1.3. Le médicament évalué                                                                                                    | 13        |
| 1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire                                                            | 13        |
| 1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)                           | 14        |
| 1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement : | 14        |
| 1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement               | 14        |
| 1.3.3. 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        |
| <b>2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)</b>                                                      | <b>16</b> |
| 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        |
| <b>3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition</b>                                                                      | <b>20</b> |
| <b>4. Questionnaire – Partie D : Synthèse</b>                                                                                | <b>21</b> |
| <b>5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques</b>                                                                    | <b>22</b> |
| <b>6. Questionnaire – Partie F : Méthodes</b>                                                                                | <b>23</b> |

# 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](mailto: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](mailto: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 :**

NEMLUVIO

**Dénomination commune internationale (DCI) :**

NEMOLIZUMAB

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

Traitement de la dermatite atopique modérée à sévère chez les patients âgés de 12 ans et plus qui nécessitent un traitement systémique.

**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 ?

Les impacts de la maladie sont nombreux, et toutes les études montrent qu'ils sont fonction du degré de sévérité de la maladie : les patients atteints de forme modérée à sévère sont ceux dont la qualité de vie et l'équilibre psychologique sont le plus touchés.

#### Fatigue :

La fatigue et les difficultés de concentration dues aux démangeaisons parfois incessantes et aux troubles du sommeil associés sont un des impacts majeurs de la maladie. Une étude récente (publiée en 2023)\* menée avec l'Association Française de l'Eczéma a montré un impact très significatif de la DA sur le sommeil des patients : 48% des 1266 patients interrogés ont rapporté des troubles du sommeil majeurs, et ce chiffre s'élève à 59% chez les patients souffrant de DA modérée à sévère

\*Misery L, Seneschal J, Corgibet F, Halioua B, Marquié A, Merhand S, Le Fur G, Staumont-Salle D, Bergqvist C, Taieb C, Ezzedine K, Richard MA. Impact of Atopic Dermatitis on Patients and their Partners. Acta Derm Venereol. 2023 Jun 26;103:adv5285. doi: 10.2340/actadv.v103.5285. PMID: 37358393; PMCID: PMC10309060.

Et ces troubles du sommeil ne touchent pas que les adultes. Selon l'étude EclAdo que l'Association Française de l'Eczéma a menée en 2019 auprès de 399 familles, 30% des adolescents concernés, et jusqu'à 80% des cas les plus sévères, affirment avoir un sommeil perturbé. Ceci entraîne des pertes de concentration à l'école.

Il faut également mentionner la charge mentale liée à la maladie : les traitements quotidiens, les précautions à mettre en place pour éviter les facteurs aggravants, les ordonnances à renouveler régulièrement, la vie à organiser et à réorganiser en fonction des crises d'eczéma, la difficulté à trouver un dermatologue... tout cela entraîne une lassitude et une fatigue intellectuelle et psychologique chez les patients

### **Activités de la vie quotidienne / Vie sociale**

Les activités de la vie quotidienne et la vie sociale sont fortement impactées : s'exposer au regard des autres, faire du sport, sortir avec des amis ou en famille, mais aussi faire le ménage, la cuisine... toutes les activités sont susceptibles d'exposer les patients à des facteurs irritants ou allergènes, ou à des regards stigmatisants.

Ainsi, selon une récente étude menée par l'Association (2023, non encore publiée) auprès de 2300 patients pour mesurer l'impact de l'eczéma sur les loisirs, 1 patient sur 2 souffrant de DA sévère a dû renoncer à pratiquer un sport, et 1 patient sur 2 souffrant de DA sévère a dû renoncer à des vacances ou des loisirs. Ces renoncements ont un fort impact sur la santé et la qualité de vie globale des patients.

### **Impacts psychologiques**

La DA est une maladie affichante, visible et peut créer un véritable mal être chez le patient, entraînant une perte de confiance en soi, un repli sur lui-même. Ainsi, 20% des adolescents interrogés par EclA-do affirment avoir été stigmatisés, chahutés, ou mis à l'écart à l'école, au cours des sept derniers jours (47% en cas d'eczéma sévère). Et 36% déclarent avoir été « mal à l'aise, malheureux ou tristes » du fait de leur eczéma au cours des sept derniers jours. Chiffre qui atteint 82% pour les cas les plus sévères.

D'autre part, selon l'étude EClA\* menée par l'Association auprès d'adultes touchés par la DA : 38% des patients atteints d'une forme sévère se disent « très souvent ou en permanence tristes et déprimés », et 77% d'entre eux se disent anxieux.

\* Misery L, Seneschal J, Reguiai Z, Merhand S, Héas S, Huet F, Taïeb C, Ezzedine K. Patient Burden is Associated with Alterations in Quality of Life in Adult Patients with Atopic Dermatitis: Results from the ECLA Study. *Acta Derm Venereol.* 2018 Jul 11;98(7):713-714. doi: 10.2340/00015555-2940. PMID: 29648674.

### **Vie professionnelle / scolaire**

Entretiens d'embauche plus difficiles à aborder quand la maladie est visible, stigmatisation sur le lieu de travail ou à l'école, absentéisme, problèmes de concentration... les difficultés sont nombreuses pour les patients, et leur impact augmente avec la sévérité de l'eczéma.

Toujours d'après l'étude EClA, plus de 25% des personnes interrogées souffrant d'une dermatite atopique sévère déclarent avoir subi au moins un problème à l'embauche, et 34% pensent : « en permanence, très souvent ou souvent », à leur dermatite atopique pendant les heures de travail.

### **Vie affective / sexuelle**

La vie affective et la vie sexuelle sont également impactées, comme le montre une étude récente\* menée avec l'Association Française de l'Eczéma : une diminution significative du désir sexuel des patients y est démontrée (26% des patients). L'apparence de la peau, la localisation de lésions sur des zones visibles ou les parties génitales, ainsi que les démangeaisons et les douleurs, sont tous les facteurs qui ont un impact négatif sur la vie intime.

\*Misery L, Seneschal J, Corgibet F, Halioua B, Marquié A, Merhand S, Le Fur G, Staumont-Salle D, Bergqvist C, Taïeb C, Ezzedine K, Richard MA. Impact of Atopic Dermatitis on Patients and their Partners. *Acta Derm Venereol.* 2023 Jun 26;103:adv5285. doi: 10.2340/actadv.v103.5285. PMID: 37358393; PMCID: PMC10309060

### **Impact financier :**

Le traitement de fond de la dermatite atopique est constitué par les produits émollients qui doivent être appliqués sur tout le corps quotidiennement, à raison de 600g à 1kg par mois, tout au long de l'année. La majorité de ces émollients sont des produits cosmétiques non remboursés par la sécurité sociale, représentant une charge financière pour les familles. Sans compter les produits d'hygiène spécifiques pour les peaux atopiques, achetés en pharmacie, et qui sont plus coûteux que les produits de base. ☑

D'autre part, la prise en charge des impacts psychologiques représente également un coût important (psychologue, activités de relaxation, sophrologie, etc)

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients<sup>1</sup> 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)

### 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*

<sup>1</sup> 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.

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

### **Fatigue :**

La fatigue ne touche pas seulement les patients eux-mêmes, mais également leurs proches.

Les parents d'enfants atteints de DA voient aussi leur nuit écourtée, et ils portent la charge mentale de la maladie et des soins à apporter à l'enfant, des rendez-vous médicaux à assurer et des ordonnances à renouveler. Par exemple, selon l'étude ECla Junior que l'association a menée auprès de parents en 2020, près de 40% des parents dont l'enfant a une atteinte sévère déclaraient penser tout le temps à l'eczéma de leur enfant pendant leur journée de travail.

Les conjoints de patients souffrant de DA voient également leur qualité de vie impactée. Une étude récente (publiée en 2023)\* menée avec l'Association auprès de patients et de leurs partenaires a montré un impact très significatif de la DA sur le sommeil des conjoints : 47% des 1266 conjoints interrogés ont rapporté des troubles du sommeil majeurs, et ce chiffre s'élève à 64% chez les conjoints de patients souffrant de DA sévère.

\*Misery L, Seneschal J, Corgibet F, Halioua B, Marquié A, Merhand S, Le Fur G, Staumont-Salle D, Bergqvist C, Taieb C, Ezzedine K, Richard MA. Impact of Atopic Dermatitis on Patients and their Partners. Acta Derm Venereol. 2023 Jun 26;103:adv5285. doi: 10.2340/actadv.v103.5285. PMID: 37358393; PMCID: PMC10309060.

### **Activités de la vie quotidienne / Vie sociale**

Les activités de la vie quotidienne et la vie sociale sont fortement impactées pour les familles de patients. Ainsi, selon l'étude ECla Junior, 27% des parents d'enfants atteints par une DA sévère indiquent que la vie de toute la famille est organisée autour de la maladie de leur enfant. Ce qui peut englober le choix des vacances, le maintien ou non de certaines activités sportives ou de certaines sorties.

Par ailleurs, les fratries peuvent aussi être touchées : selon la même étude ECla Junior, 24% de parents d'enfant atteint par une DA sévère déclarent que la maladie les force à délaisser leurs autres enfants.

### **Impacts psychologiques**

Les impacts psychologiques peuvent être très forts chez les proches : culpabilité, sentiment d'impuissance, sont fréquemment rapportées par les parents. L'étude ECla Junior montre que 53% des parents d'enfant atteint de DA sévère éprouvent de la culpabilité.

Cette charge psychologique s'observe également chez les conjoints qui partagent le stress et l'anxiété des patients, et sont même parfois plus anxieux que les patients eux-mêmes. Par exemple, l'étude\* menée auprès des patients et de leur partenaire montre que 43% des conjoints, contre 28% des patients eux-mêmes, ont peur de transmettre la DA à leurs enfants.

\*Misery L, Seneschal J, Corgibet F, Halioua B, Marquié A, Merhand S, Le Fur G, Staumont-Salle D, Bergqvist C, Taieb C, Ezzedine K, Richard MA. Impact of Atopic Dermatitis on Patients and their Partners. Acta Derm Venereol. 2023 Jun 26;103:adv5285. doi: 10.2340/actadv.v103.5285. PMID: 37358393; PMCID: PMC10309060.

### **Vie professionnelle / scolaire**

La vie professionnelle des parents s'occupant d'enfants atteints de DA peut être très significativement impactée : selon l'étude ECla Junior, 43% des parents d'enfant atteint de DA sévère ont dû poser un arrêt de travail dans les dernières semaines à cause de la DA de leur enfant.

### **Vie affective / sexuelle**

La vie affective des parents d'enfant atteints de DA peut être perturbée. Ainsi l'étude ECla Junior montre des tensions dans le couple chez 24% des parents dont l'enfant a une forme sévère de DA.

L'étude récente\* menée avec l'association auprès des patients et de leur partenaire montre une diminution du désir sexuel chez les conjoints encore plus importante que chez les patients eux-mêmes (39% indiquent une baisse de désir sexuel à cause de la DA, contre 26% chez les patients eux-mêmes). Ce score élevé pourrait être relié au fait que 33% des conjoints interrogés dans cette étude ont peur que la DA de leur partenaire soit contagieuse

\*Misery L, Seneschal J, Corgibet F, Halioua B, Marquié A, Merhand S, Le Fur G, Staumont-Salle D, Bergqvist C, Taieb C, Ezzedine K, Richard MA. Impact of Atopic Dermatitis on Patients and their Partners. Acta Derm Venereol. 2023 Jun 26;103:adv5285. doi: 10.2340/actadv.v103.5285. PMID: 37358393; PMCID: PMC10309060

## 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.**

Les traitements proposés se font principalement en ambulatoire, mais certains patients atteints d'une forme sévère nécessitent des hospitalisations régulières pour contrôler et soulager les symptômes, ce qui a un fort impact sur leur qualité de vie.

**Adultes :**

Les traitements de première intention dans la DA sont les traitements topiques : émollients, dermo-corticoïdes et tacrolimus. Ces traitements sont parfois administrés sous occlusion pour en augmenter l'efficacité. Ils sont souvent insuffisants pour contrôler durablement les symptômes des malades atteints de forme modérée à sévère.

En l'absence de réponse satisfaisante de ces traitements, de la photothérapie peut être proposée à certains patients. Un traitement immunosuppresseur par ciclosporine peut aussi être mis en place.

En cas d'échec, de contre-indication ou d'intolérance à la ciclosporine, des anticorps monoclonaux inhibiteurs d'interleukine (dupilumab, tralokinumab), ou des inhibiteurs de Janus-kinase (upadacitinib, baricitinib, abrocinitib) peuvent être administrés.

**Enfants :**

Les traitements de première intention dans la DA sont les traitements topiques : émollients, dermo-corticoïdes et tacrolimus. Ces traitements sont parfois administrés sous occlusion pour en augmenter l'efficacité. Ils sont souvent insuffisants pour contrôler durablement les symptômes des malades atteints de forme modérée à sévère

En l'absence de réponse satisfaisante de ces traitements, des anticorps monoclonaux inhibiteurs d'interleukine (dupilumab) peuvent être administrés à partir de 6 mois.

**Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?**

De plus en plus de traitements sont disponibles pour les adultes depuis quelques années. Certains anticorps monoclonaux inhibiteurs d'interleukine sont également disponibles pour prendre en charge les DA modérées à sévères des enfants, ce qui est une avancée majeure et ouvre un grand nombre de perspectives et de sources d'espoir pour les patients dont la DA ne peut pas être soulagée par les traitements topiques. De nombreux patients nous ont fait part de leur satisfaction concernant ces nouveaux traitements, qui le plus souvent leur permet de retrouver une peau quasi normale, et une qualité de vie bien meilleure.

**Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?**

Si un grand nombre de patients sont soulagés par les traitements actuellement disponibles, d'autres (environ 20% d'après les praticiens hospitaliers que nous avons interrogés) doivent essayer plusieurs échecs avant de trouver un traitement qui les soulage. Il est donc fondamental qu'un arsenal thérapeutique large puisse être proposés aux patients. D'autant plus que pour l'instant, ces traitements doivent être maintenus à vie pour beaucoup de patients.

D'autre part, certains patients doivent stopper des traitements à cause d'effets secondaires trop gênants, notamment au niveau oculaire. Là encore, il est important de pouvoir essayer plusieurs traitements avant de trouver celui qui conviendra et pourra être maintenu sans gêne ni danger pour le patient.

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

Comme mentionné plus haut, les traitements actuellement proposés ne couvrent pas les besoins de 100% des patients, puisque 20% environ n'y répondent pas. Ces patients sont souvent les plus sévèrement atteints et ceux qui nécessitent des hospitalisations très fréquentes (plusieurs fois par an), et qui sont handicapés par la maladie 100% du temps. Il est donc urgent que l'arsenal thérapeutique soit élargi pour ces patients

### 1.3. Le médicament évalué



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

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

#### 1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

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

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 une publication concernant les études cliniques réalisées sur ce médicament\*, et nous avons également interrogés des dermatologues investigateurs ayant eu l'expérience du médicament lors de ces tests.

Ce que nous retenons principalement de ces lectures et discussions est :

- tout d'abord l'efficacité significative du médicament sur le prurit, ce qui est fondamental pour les patients, car le prurit est le symptôme qui impacte le plus la qualité de vie globale des patients (entraînant l'aggravation des lésions, du stress, de la culpabilité, des troubles du sommeil, des difficultés de concentration).
- Une deuxième chose très importante soulignée par les investigateurs interrogés est la très bonne tolérance du produit, notamment au niveau oculaire. Ayant un mécanisme d'action légèrement différent des biothérapies déjà sur le marché, Nemluvio n'a pas les mêmes inconvénients au niveau oculaire (conjonctivites, kératites), qui ont entraîné l'arrêt de traitement pour certains patients sous d'autres biothérapies.

\* Silverberg JI, Wollenberg A, Reich A, Thaçi D, Legat FJ, Papp KA, Stein Gold L, Bouaziz JD, Pink AE, Carrascosa JM, Rewerska B, Szepietowski JC, Krasowska D, Havlíčková B, Kalowska M, Magnolo N, Pauser S, Nami N, Sauder MB, Jain V, Padlewska K, Cheong SY, Fleuranceau Morel P, Ulianov L, Piketty C; ARCADIA 1 and ARCADIA 2 Study Investigators. Nemolizumab with concomitant topical therapy in adolescents and adults with moderate-to-severe atopic dermatitis (ARCADIA 1 and ARCADIA 2): results from two replicate, double-blind, randomised controlled phase 3 trials. *Lancet*. 2024 Aug 3;404(10451):445-460. doi: 10.1016/S0140-6736(24)01203-0. Epub 2024 Jul 24. PMID: 39067461.

Copy

Download .nbib

Format:

#### 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 ?**

Nous n'avons pas identifié d'inconvénients de Nemluvio par rapport aux traitements actuels

### 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 notamment<sup>2</sup> 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.*

<sup>2</sup> 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 fin<sup>3</sup>.*



*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,*

<sup>3</sup> Également appelées « variables d'intérêt »

*merci de nous adresser un mail de demande à [contact.contribution@has-sante.fr](mailto: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.*

La dermatite atopique modérée à sévère a un impact important sur la qualité de vie des patients et de leurs proches. La fatigue générée par les démangeaisons fortes qui altèrent le sommeil et la concentration en journée est une des plus grandes difficultés rencontrées. Par ailleurs, le stress, l'anxiété générés par cette maladie chronique qui survient par crises difficilement contrôlables, peuvent induire des cercles vicieux dont il est difficile de sortir. Les proches culpabilisent, sont souvent encore plus anxieux que les patients eux-mêmes, et c'est souvent le couple ou toute la famille, fratrie comprise, qui sont impactés quand un membre de la famille est atteint.

Cette maladie chronique ne peut pour l'instant pas être guérie, et peut gâcher toute une vie. Les patients attendent donc des médicaments leur permettant de retrouver une qualité de vie acceptable sur le long terme.

Les médicaments développés depuis quelques années sont un soulagement, ils viennent apporter de l'espoir aux patients, et ont déjà pu soulager un grand nombre d'entre eux. Mais ces médicaments disponibles sur le marché sont encore trop peu nombreux, et une part importante des patients atteints par des formes modérées à sévères de la maladie n'ont pas encore trouvé le traitement qui soulage leurs symptômes efficacement et avec des effets secondaires supportables.

Nous avons donc besoin que l'arsenal thérapeutique se développe pour répondre aux besoins de tous les malades et attendons avec impatience que ce nouveau traitement vienne compléter les propositions existantes. Nemluvio nous paraît efficace, en particulier sur le prurit, et sûr, et correspond aux attentes des patients en ce qui concerne les traitements de la maladie.

## 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 principalement les données issues des études de qualité de vie que nous menons auprès des patients, de leurs familles et de leurs conjoints (études réalisées entre 2019 et 2023). Nous avons également utilisé les témoignages que nous recevons au quotidien, sur les réseaux sociaux, ou par email, ou lors d'événements organisés par l'association.

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

Nous avons consulté une publication concernant les études cliniques réalisées sur ce médicament\*, et nous avons également interrogés des dermatologues investigateurs ayant eu l'expérience du médicament lors de ces tests.

\* Silverberg JI, Wollenberg A, Reich A, Thaçi D, Legat FJ, Papp KA, Stein Gold L, Bouaziz JD, Pink AE, Carrascosa JM, Rewerska B, Szepietowski JC, Krasowska D, Havlíčková B, Kalowska M, Magnolo N, Pauser S, Nami N, Sauder MB, Jain V, Padlewska K, Cheong SY, Fleuranceau Morel P, Ulianov L, Piketty C; ARCADIA 1 and ARCADIA 2 Study Investigators. Nemolizumab with concomitant topical therapy in adolescents and adults with moderate-to-severe atopic dermatitis (ARCADIA 1 and ARCADIA 2): results from two replicate, double-blind, randomised controlled phase 3 trials. Lancet. 2024 Aug 3;404(10451):445-460. doi: 10.1016/S0140-6736(24)01203-0. Epub 2024 Jul 24. PMID: 39067461.

Copy

#### **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 ?**

La rédaction a nécessité environs 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](http://www.has-sante.fr)

---

