
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	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	12
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	Erreur ! Signet non défini.
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	Erreur ! Signet non défini.
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	Erreur ! Signet non défini.
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	Erreur ! Signet non défini.
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	13
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	13
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	15
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	Erreur ! Signet non défini.
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	Erreur ! Signet non défini.
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	Erreur ! Signet non défini.
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	Erreur ! Signet non défini.
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	Erreur ! Signet non défini.
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	16
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	17
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	Erreur ! Signet non défini.
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	Erreur ! Signet non défini.

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.

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 FRANCE REIN

Site internet :

<https://www.francerein.org>

Adresse postale (le cas échéant) :

19 boulevard Malesherbes – 75 008 Paris

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 :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

VELTASSA

Dénomination commune internationale (DCI) :

PATIROMER

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

VELTASSA
patiromère
calcique

Remboursement
- Inscription

Est indiqué pour le traitement de l'hyperkaliémie chez l'adulte.

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

FRANCE REIN a contribué deux fois à l'occasion d'évaluations de Veltassa, en 2018 et en 2021.

En 2021, nous avons communiqué à la HAS les résultats d'une enquête patients que nous avons réalisée sur l'impact de l'hyperkaliémie sur la qualité de vie des malades insuffisants rénaux.

Jusqu'à récemment, les traitements disponibles n'avaient pas évolué, quasi exclusivement le Kayexalate, très critiqué par les patients du fait de son goût insupportable et des difficultés de dosage.

Aussi, nous rappelons ici les principaux résultats de cette enquête. (Pour résultats complets, on pourra se reporter à notre précédente contribution).

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

Objet de l'enquête :

L'enquête portait sur l'hyperkaliémie.

354 réponses complètes.

Le questionnaire comprenait 33 questions couvrant :

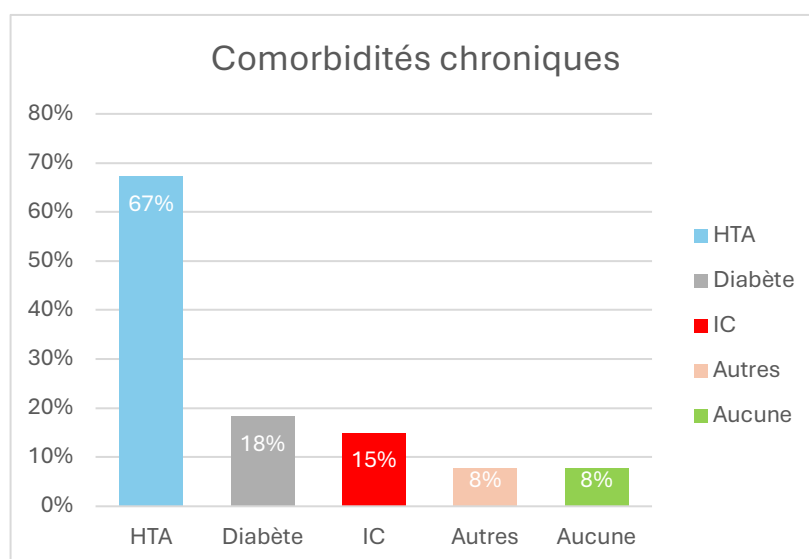
- Le profil des patients
- L'autoévaluation de leur état de santé
- L'hyperkaliémie : traitement, crises, symptômes, hospitalisations, mesures prises suite aux crises, connaissance des risques, contrôle du taux de potassium, vécu sur le traitement actuel, attentes vis-à-vis d'une alternative, témoignages libres.
- L'impact de la maladie sur la vie familiale, professionnelle, sur l'entourage.

Cette enquête nous semble toujours d'actualité puisque, jusqu'à récemment les patients n'avaient globalement accès qu'au Kayexalate

Profil des 354 patients répondants :

- Moyenne d'âge des répondants 65 ans
- Femmes 43% / Hommes 57%
- 146 patients dialysés (41%) 208 patients non dialysés (59%)

Comorbidités rapportées



La très forte majorité de patients HTA confirme l'intérêt d'un traitement de l'hyperkaliémie compatible avec les traitements contre l'HTA, comme le Veltassa.

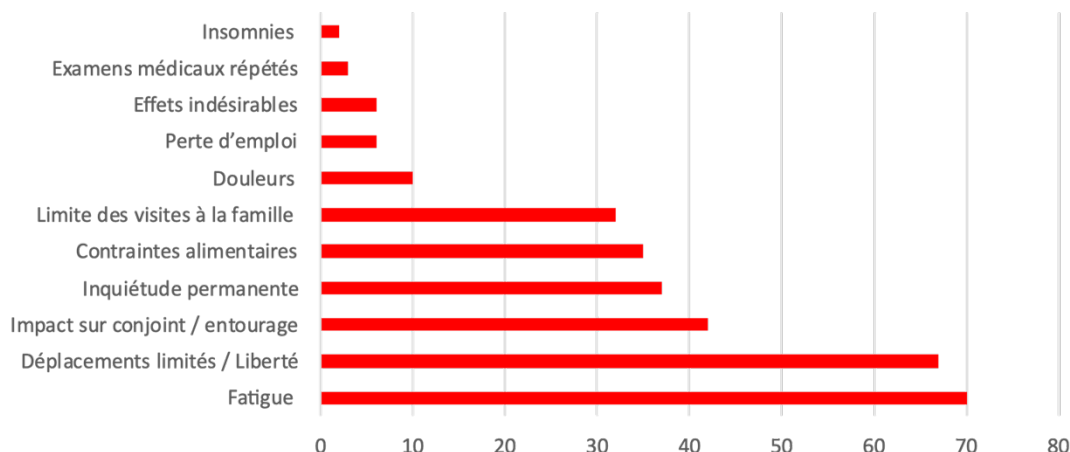
Les patients sous traitement contre l'hyperkaliémie

- Question posée : « ***Prenez-vous actuellement un traitement pour contrôler votre taux de potassium?*** »

Sur 208 patients non dialysés, 46 sont sous traitement contre l'hyperkaliémie (HK) (22 %) dont :

- 31 souffrent d'HTA
- 2 souffrent d'IC dont 1 d'IC + HTA:
- 46 sont sous traitement contre l'hyperkaliémie
 - 33% d'entre eux ont fait au moins une crise d'hyperkaliémie au cours des 12 derniers mois, avec une moyenne de 2 épisodes en 1 an.
 - **Dont 15-20% ont été hospitalisés directement à cause de leur hyperkaliémie, au cours des 12 mois précédant l'enquête, alors qu'ils étaient sous traitement.**

Décrivez l'impact sur votre vie familiale ; Synthèse



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

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

- Impact sur l'entourage

L'impact ressenti concerne très majoritairement le conjoint, en second lieu les enfants.

Les patients évoquent l'inquiétude de l'entourage quant à la prise des traitements, l'alimentation et la fatigue, commune à une majorité d'entre eux. Notamment la charge mentale des aidants d'une maladie chronique irréversible pèse particulièrement sur les patients comme leurs proches.

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

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

Comme décrit plus haut, nous avons jusqu'ici contribué dans un contexte de recours quasi exclusif au Kayexalate et avons eu l'occasion d'évoquer les soucis d'inobservance directement liés aux propriétés de ce traitement.

Dans l'enquête, nous avons donc demandé aux patients ayant fait une crise d'hyperkaliémie :

« selon vous, pourquoi avez-vous fait un épisode d'hyperkaliémie alors que vous étiez sous traitement ? »

100% des patients concernés mentionnaient :

- Que « le dosage était insuffisant »
- Qu'ils « ne prenaient pas leur traitement »

86% étaient sous Kayexalate.

80% d'entre eux expriment des critiques envers leur traitement actuel.

Nous constatons donc une non-observance importante chez ces patients.

De même, et en complément des données de notre enquête communiquées en 2021, nous avons à nouveau regardé le cas des patients non dialysés, sous traitement contre l'hyperkaliémie.

Sur les 141 patients ayant répondu qu'ils étaient sous traitement contre l'hyperkaliémie, 46 n'étaient pas dialysés à la date de l'enquête ou n'avaient jamais été dialysés.

Sur ces 46 patients, 85% ont déclaré être sous kayexalate.

13 d'entre eux (soit 28%) avaient fait une crise d'hyperkaliémie au cours de 12 derniers mois, dont :

- 2 au moins 4 crises
- 1 au moins 3 crises
- 6 au moins 2 crises
- 4 au moins 1 crise

Or, comme il est clairement à nouveau rappelé dans des publications très récentes :
« L'hyperkaliémie, fréquente en pratique clinique courante, est un facteur de risque majeur de mortalité. » <https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0248866324000043>

Les auteurs d'ajouter :

« Son utilisation est souvent limitée par ses effets secondaires digestifs (goût, douleurs abdominales) et la nécessité d'être dilué dans de grands volumes d'eau par dose) pouvant être délétère dans le contexte de l'IRC et de l'insuffisance cardiaque.

Deux études observationnelles rétrospectives de grande ampleur ont récemment rapporté une association entre la prise de SPS et la survenue de complications digestives.»

Nous souhaitons donc nous assurer qu'un patient ne pouvant pas bénéficier d'une alternative thérapeutique, pour des raisons comme les œdèmes par exemple, n'ait pas à devoir subir le KAYEXALATE et puisse bénéficier d'un traitement efficace et toléré.

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

Cf infra sur la nécessité de disposer d'alternatives pour répondre aux caractéristiques et profils des patients.

1.3. Le médicament évalué

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

1.3.1.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation

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

Nous nous réjouissons que, dans son avis du 04 avril 2024, les membres de la commission de la transparence valident clairement le regard que nous portons depuis longtemps sur les traitements disponibles.

Extraits concernant Kayexalate: « *franchement, c'est l'horreur* » ou encore « *...C'est tellement difficile à gérer en termes d'observance et les aspects gustatifs dont il a parlé. C'est du plâtre, c'est tout à fait ça* ».

Nous ne développerons donc pas plus les inconvénients rencontrés par les malades depuis des années face au Kayexalate.

Nous étions favorables depuis des années à un accès rapide des malades au Veltassa, mais dont nous ne disposons toujours pas en dépit de nos demandes répétées d'une alternative, même imparfaite. Nous n'avions pas été entendus.

Le kayexalate n'étant plus le sujet principal, la question est de regarder désormais si les patients ont besoin de Veltassa.

Dans notre enquête, les attentes des patients étaient exprimées clairement :

- « *Plus efficace* »
- « *Plus facile à prendre au quotidien* »
- « *Plus facile à doser* »
- « *Moins d'effets secondaires* »
- « *Qu'il me permette de ne pas arrêter mes traitements antihypertenseurs* »

Si nous nous référons à la publication récente citée plus haut, nous retirons de nos lectures et des discussions précédentes de la HAS que les nouveaux traitements proposés sont proches ou équivalents en termes d'efficacité, mais pas en termes de tolérance pour tous les malades.

En effet, la population des patients insuffisants rénaux recoupe de nombreux profils.

Il est prioritaire pour les malades de disposer de traitements efficaces et d'alternatives permettant de tenir compte de leur profil patient, de leurs fragilités, comorbidités...

L'efficacité ne semble pas remise en question s'agissant de veltassa, et ce au travers de nombreuses études. « *Plusieurs études démontrent l'efficacité du patiromer sur la réduction du risque d'hyperkaliémie chez des patients insuffisants cardiaques et/ou rénaux traités par iSRAA (IEC, ARA2, antagonistes des minéralocorticoïdes)* »

A efficacité égale, nous estimons que le traitement doit pouvoir s'adapter au profil des patients (pathologies, fragilités, comorbidités).

Quelques points d'attention :

- **Le Patiromer présente « l'avantage de ne pas contenir de sodium et évite donc d'induire une surcharge hydrosodée chez les patients insuffisants cardiaques ou rénaux ».** Ceci nous semble très important pour les patients ayant une tendance à la rétention hydrosodée ;
- **Il en va de même pour les malades sujets à œdèmes. Des cas d'œdèmes sont fréquemment rapportés avec Lokelma.** « *...un œdème a été signalé chez 4,4 %, 5,9 %, 16,1 % des patients non dialysés traités par 5 g, 10 g et 15 g de LOKELMA une fois par jour, respectivement, contre 2,4 % des patients non dialysés recevant un placebo* ». <https://www->

Il est important pour nous que, pour les patients sous Lokelma et devant arrêter le traitement pour cause d'œdèmes, ces malades ne soient jamais remis sous Kayexalate et disposent d'une alternative ou se voient prescrire immédiatement le traitement présentant moins de risque pour eux.

Une fois de plus, le fait de disposer de deux médicaments sur le marché est essentiel pour s'adapter aux caractéristiques du patient et aux différents profils.

- Nous tenons le même raisonnement pour les patients insuffisants rénaux traités IsRAA. Nous avons insisté dans notre précédente contribution sur le fait que Veltassa est plus favorable en termes de maintien des traitements en cours.
- De même, il faut éviter à tout prix que les malades doivent arrêter leur traitement contre l'HTA du fait de l'hyperkaliémie.
- Sur la tolérance, les effets digestifs sont visiblement rares ou alors supportables.
- Enfin, au point de vue de l'observance : aucun cas d'inobservance liée au Patiromer ne semble avoir été rapporté dans les études, ce qui est une avancée majeure par rapport aux traitements disponibles jusqu'à présent.

L'absence de goût de ce médicament ainsi que la facilité à doser sont des atouts majeurs pour les malades.

1.3.1.2. 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 craintes à exprimer. La priorité est de prescrire aux patients un traitement acceptable pour eux et favorisant à la fois moins d'effets indésirables et une meilleure observance.

2. 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)

3. 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 entendu pas limitative.

L'insuffisance rénale est une maladie chronique évolutive avec un fardeau qui peut devenir très lourd pour les malades et leurs proches.

L'hyperkaliémie, facteur aggravant de l'insuffisance rénale, représente un risque majeur de mortalité. Au-delà, notre enquête montre que même avec les traitements, type KAYEXALATE, il y a un risque réel de déclencher un événement grave d'hospitalisation pour cause d'hyperkaliémie, et donc un réel besoin thérapeutique.

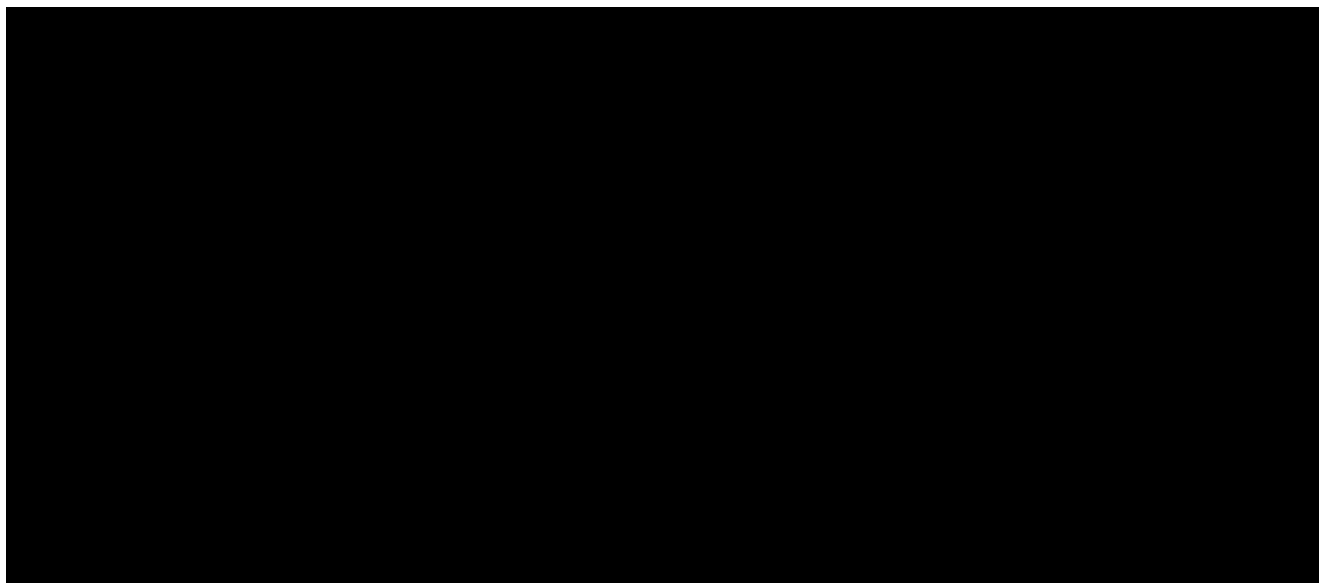
Il existe un véritable sujet autour des traitements disponibles, leur adéquation aux profils patients et sur l'observance.

Nous estimons que le traitement évalué présente plusieurs avantages notables pour les malades, et notamment :

- En termes d'acceptabilité et d'observance du fait de l'absence de goût et de facilité de dosage ;
- L'absence de sodium pour les malades ayant une tendance à la rétention hydrosodée ;
- Moins de risques d'œdèmes ;
- Moins de risques d'arrêter d'autres traitements ;
- Des effets indésirables rares ou supportables

A efficacité comparable, il est indispensable de disposer de plusieurs médicaments sur le marché pour permettre de s'adapter aux caractéristiques du patient et aux différents profils.

Nous sommes favorables à un accès rapide et facile des patients au médicament évalué.



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 téléphoniques, 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 ?

Base enquête France-Rein de 2021 et retours patients

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

2 jours

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

