
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'utilisateurs

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

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

Mise à jour mars 2024

Sommaire

Introduction	3
Note importante	4
Informations administratives (contact)	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
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)	13
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	15
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	16
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	16
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	16
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	16
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	16
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	16
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	17
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	17
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	18
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	19
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	19
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	21
Retrouvez tous nos travaux sur www.has-sante.fr	
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	22
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	23
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	24

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.

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

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.

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



Informations administratives (contact)

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association Neurofibromatoses et Recklinghausen (A.N.R.)

Site internet :

www.anrfrance.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

3 rue Raoul Mignon, appt 11, 59960 Neuville-en-Ferrain

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

Association loi 1901, reconnue d'utilité publique par décret du 3 mai 2004 (J.O. du 8 mai 2004)

RNA W595026835

affiliation à une fédération ou un réseau : Alliance Maladies rares, Eurordis.

Principales activités de votre association :

- l'information par tous moyens de communication du grand public, du monde médical, médico-social, de l'enseignement et des adhérents ;
- la stimulation des initiatives en vue d'améliorer le diagnostic, la prévention, la recherche, le traitement et la connaissance concernant ces affections ;
- le soutien et l'assistance du malade et de son entourage ;
- la création d'événements, sous quelque forme que ce soit, dès lors que ces activités ou opérations peuvent se rattacher directement ou indirectement à l'objet social ou à tous les objets similaires, connexes ou complémentaires.

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

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

☐ 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 : _____

Dépenses	2022	Recettes	2022
charges d'exploitation		produits d'exploitation	
Achats de marchandises	2 062,00	adhésions	27 555,00
stock	2 778,00	ristournes	- 3 924,00
fournitures - licences - ass - documentation	7 222,00	ventes , manifestations	12 609,00
charges externes dont	116 541,00	subventions publiques	200,00
publications - publicité - relations publiques		subventions privées (AstraZeneca)	21 000,00
formation - honoraires		dons	198 957,00
déplacements - missions réceptions	75 766,00	stylos, cartouches encre, divers	4 804,00
séjour La Ribambelle	50 492,00	courses des héros	8 414,00
tél - internet	8 132,00		
autres charges	15 782,00	divers	1 166,00
charges exceptionnelles et autres	1 761,00		
amortissements	619,00	produits exceptionnels (dont Com-PaRe)	61 522,00
Impôts	1 703,00	revenus des placements	8 239,00
	282 858,00		340 542,00
financement recherche	35 398,00	legs	-
financement Fondation CAP NF	60 000,00	ass vie	5 297,00
	378 256,00		345 839,00
TOTAL DEPENSES	378 256,00	TOTAL RECETTES	345 839,00
augmentation réserves	-	diminution réserves	32 417,00
	378 256,00		378 256,00
		Bénévolat	43 915,00
compte de résultat Orméo, expert comptable		Prestations en nature	9 793,00

Budget total de l'association pour l'année N-2 : _____

Dépenses	2023	Recettes	2023
charges d'exploitation		produits d'exploitation	
Achats de marchandises	7 745,00	adhésions	26 115,00
stock	- 2 445,00	ristournes	- 3 785,00
fournitures - licences - ass - documentation		ventes , manifestations	17 559,00
charges externes dont		subventions publiques	
publications - publicité - relations publiques	31 223,00	subventions privées (Alexion)	18 000,00
formation - honoraires	7 404,00	dons	220 074,00
déplacements - missions réceptions	57 841,00	stylos, cartouches encre, divers	4 755,00

séjour La Ribambelle	82 812,00	courses des héros	5 452,00
tél - internet	6 978,00	droits d'auteur	1 503,00
autres charges	51 200,00	divers	346,00
manifestations sportives	10 872,00		
Impôts	833,00	revenus des placements	4 582,00
amortissements	223,00	produits exceptionnels	-
	254 686,00		294 601,00
financement recherche	43 000,00	legs	-
financement Fondation CAP NF		ass vie	
	297 686,00		294 601,00
TOTAL DEPENSES	297 686,00	TOTAL RECETTES	294 601,00
augmentation réserves		diminution réserves	3 085,00
	297 686,00		297 686,00
		Bénévolat	76 484,00
compte de résultat Orméo, expert comp- table		Prestations en nature	6 878,00

– Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : _____

Dépenses	2024	Recettes	2024
charges d'exploitation		produits d'exploitation	
Achats de marchandises	5 350,00	adhésions	27 040,00
stock	2 202,00	ristournes	- 4 315,00
fournitures - licences - ass - documentation	7 458,00	ventes , manifestations	12 589,00
charges externes dont		subventions publiques	
publications - publicité - relations publiques	131 201,00	subventions privées (Alexion...)	16 100,00
formation - honoraires	3 108,00	dons	199 987,00
déplacements - missions réceptions	84 760,00	stylos, cartouches encre, divers	3 936,00
séjour La Ribambelle	9 521,00	courses des héros	4 427,00
tél - internet	6 870,00	droits d'auteur	-
réceptions (journées NF)	37 222,00		
autres charges (logiciel...)	6 197,00	divers	81,00
manifestations sportives	11 762,00		
Impôts	931,00	revenus des placements	5 160,00
amortissements	-	produits exceptionnels	182,00
divers	124,00		
	306 706,00		265 187,00
financement recherche	10 600,00	legs	-
financement Fondation CAP NF		ass vie	-
TOTAL DEPENSES	317 306,00	TOTAL RECETTES	265 187,00
augmentation des réserves		diminution des réserves	52 119,00
	317 306,00		317 306,00
		Bénévolat	74 361,50
compte de résultat Orméo, expert comp- table		Prestations en nature	23 280,00



– Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : _____

Dépenses	2025	Recettes	2025
charges d'exploitation		produits d'exploitation	
Achats de marchandises	5 100,00	adhésions	27 000,00
stock		ristournes	4 300,00
fournitures - licences - ass - docu- mentation	7 500,00	ventes , manifestations	15 000,00
charges externes dont		subventions publiques	
publications - publicité - relations publiques	80 000,00	subventions privées (Alexion...)	10 000,00
formation - honoraires	3 200,00	dons	200 000,00
déplacements - missions réceptions	60 000,00	stylos, cartouches encre, divers	4 000,00
séjour La Ribambelle	70 000,00	courses des héros	4 400,00
tél - internet	6 900,00	droits d'auteur	0
réceptions (journées NF)	45 000,00		
autres charges (logiciel...)	6 000,00	divers	0
manifestations sportives	10 000,00		
Impôts	1 000,00	revenus des placements	5 000,00
amortissements	0	produits exceptionnels	0
divers	0		
	294 700,00		269 700,00
financement recherche	0,00	legs	50 000,00
financement Fondation CAP NF	20 000,00	ass vie	0
TOTAL DEPENSES	314 700,00	TOTAL RECETTES	319 700,00
augmentation des réserves	5 000,00	diminution des réserves	0,00
	319 700,00		319 700,00
		Bénévolat	80 000,00
		Prestations en nature	10 000,00

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2022	AstraZeneca	21000	5.5
2022	Ville de Coutances (50)	200	0.05
2023	Alexion	18000	6.05
2024	Alexion	15000	4.73
	Ct Mutuel	500	0.01
	Sofran	600	0.01

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

KOSELUGO

Dénomination commune internationale (DCI) :

Selumetinib

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

Médicament en accès précoce pré-AMM dans le traitement des neurofibromes plexiformes symptomatiques inopérables liés à une neurofibromatose de type 1 chez les patients adultes.

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

☐ En vue du remboursement de droit commun

☒ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



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 ?

La neurofibromatose de type 1 -maladie de von Recklinghausen- se manifeste principalement (pas uniquement) par des neurofibromes qui sont des tumeurs situées le long des nerfs.

Les atteintes sont très variées et parmi celles-ci, certains patients développent des neurofibromes plexiformes, c'est-à-dire de taille importante, particulièrement invalidants.

Ces tumeurs entraînent des déformations physiques importantes et peuvent être situées sur toute partie du corps.

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



L'évolution de la maladie est inconnue, à la fois dans le temps et dans la forme.

« Il peut être douloureux quand on le touche et ce n'est pas évident pour l'habillage (à la taille) »

« Plexiforme au visage, donc le regard des autres... j'ai un visage dissymétrique ».

« Plexiforme sur la joue. à la dernière opération, la cicatrice n'a pas tenue 2 jours, donc plaie ouverte de 6x4 cm qui s'est refermée naturellement en 4 mois avec soin journalier par une infirmière. »

« J'ai une déformation visible (visage), le regard des autres..., avec une gêne pour le choix vestimentaire et des douleurs.

Les biopsies me posent beaucoup de difficultés que ce soit au niveau physique et psychologique. »

« Porter des charges lourdes ou me cogner sur le neurofibromatose plexiforme... »

«angoisses vis à vis de l'avenir »

« Un mollet plus gros que l'autre, ce qui peut me gêner pendant le sport ou la marche, avec parfois des douleurs. »

« Très fort impact : plus de vie sociale, plus de loisirs, vie centrée uniquement sur la recherche de solutions suite à détection tardive de TDAH et TSA ayant induit une déscolarisation. »

« Le regard des autres est parfois compliqué. »

« A 44 ans, à cause d'un plexiforme, j'ai subi une amputation au-dessus du coude gauche, j'ai perdu mon emploi et j'ai été mise en invalidité. Il a fallu nous réorganiser, acheter une voiture adaptée, reprendre des cours de conduite, recruter une aide-ménagère... »

« Je suis en arrêt de travail depuis 2 ans à cause des douleurs qui ont mené à un burn-out. »

« Neurofibrome plexiforme du visage volumineux affectant l'estime de soi, psychologiquement compliqué, et quelques douleurs au contact et compression. L'aspect esthétique pose le plus de difficultés. »

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

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

ComPaRe neurofibromatoses (compare.aphp.fr)

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

Retrouvez tous nos travaux sur

www.has-sante.fr

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

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

- Fatigue intellectuelle ou physique
- Activités de la vie quotidienne

- Mobilité/déplacement
- Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille
- Vie professionnelle – Capacité de travail
- Vie affective
- Vie sexuelle
- Vie sociale
- Impacts psychologiques
- Aspects financiers
- Autres aspects

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

« Ma maman est mon aidante salariée à temps plein depuis 2 ans . Elle a du quitté son précédent emploi pour s'occuper de moi. Pas de structure possible pouvant m'accueillir avec mes troubles. »

« J'ai un soutien de mes proches mais pour moi j'aimerais pouvoir vivre plus sereinement ma maladie. Savoir qu'il existe un traitement qui puisse soigner de manière thérapeutique la maladie donne un véritable espoir. Je suis très complexé. »

« de ne pouvoir rien faire... »

« Inquiétude des proches sur l'évolution du neurofibrome plexiforme, il va grossir à quelle vitesse? »

« Ma fille avait 9 ans lors de mon amputation, cela n'a pas été facile pour elle au début, elle ne voulait pas voir mon moignon mais en grandissant elle m'a toujours soutenue, aidée, et ses amies m'ont acceptée avec mon handicap. Mon mari m'a beaucoup aidée pour ma nouvelle vie. »

« Le maladie affecte tout mon entourage car cela fait 8 ans que je souffre. »

« Mon entourage me soutient mais sous-estime l'impact de la maladie sur ma vie. »

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).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr





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.

Comme il n'y a pas de médicaments déjà proposés, les soins se limitent à l'accompagnement, la rééducation et le soutien psychologique en cas d'amputation par exemple.

Lorsque c'est possible, la chirurgie est le traitement le plus adapté. Malheureusement elle n'est pas toujours possible, ou alors très partiellement.

Pour les autres manifestations, les thérapeutiques médicamenteuses ne traitent bien souvent que les symptômes, et pas les causes. C'est un peu "un pansement sur une jambe de bois".

« Boff que de la gabapentine... »

« suite à mon amputation, j'ai eu une prothèse que je n'ai gardé que 2 ans, je ne la supportais pas et elle n'était pas d'un si grand secours notamment pour les repas. J'ai eu aussi du Tegretol même si je me demande encore à quoi cela a pu servir. »

« J'ai très mal supporté les médicaments (Lyrica, Laroxyl par ex.). Je dépense beaucoup en soins et en médecine douce. »

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Sans objet.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

L'absence de traitements permet, a contrario, de bien faire comprendre au patient qu'il est atteint d'une maladie orpheline et qu'il ne va pas guérir...

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



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

L'accompagnement d'un malade est certes important mais, en l'absence d'un traitement « curatif »... la maladie demeure !

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.



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).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

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.

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 ?

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 ?

1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

Quelles sont les principales craintes concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?



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 ?

Il nous semble que les éléments notés plus haut (impacts) apportent les réponses.

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



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

Il nous semble que les éléments notés plus haut (impacts) apportent les réponses.

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 notamment¹ 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).*

En dehors de la chirurgie dans le cas d'un neurofibrome plexiforme de taille modérée, il n'y a pas de traitement et l'attente d'un véritable traitement est forte de la part des personnes que nous côtoyons, patients ou familles.

Depuis 2021, le Koselugo peut déjà être prescrit pour les enfants porteur d'un neurofibrome plexiforme inopérable. Nous imaginons donc que le selumetinib peut aussi, à dose appropriée, avoir un effet bénéfique chez l'adulte pour la même indication. C'est, en tout cas, notre espoir et celui des familles.

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*

¹ Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)

ou sous format papier afin de recueillir eux-mêmes des données de santé et plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.

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

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



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

Nous pensons que la prescription en milieu hospitalier (centres de référence et de compétences NF) est à même de permettre une observation attentive et une évaluation pertinente de la part de médecins connaissant la neurofibromatose de type 1.

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 ?

Un recensement attentif des effets secondaires.

L'utilisation d'échelles d'évaluation de la douleur.

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. ?)

S'appuyer sur le « Réseau NF », c'est-à-dire les médecins des centres de référence et de compétences au fait de la maladie.

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

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



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 fin².



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

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

Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

☐ Oui

☒ Non

Avez-vous des commentaires ou des compléments relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

Dans le cas de jeunes enfants, la forme d'un médicament à ingérer peut parfois entraîner des difficultés mais cela ne semble pas le cas pour le selumetinib et les adultes.

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



² Également appelées « variables d'intérêt »

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'usagers lors de l'examen de la demande.

Vous pouvez ici manifester votre intérêt pour une telle audition (en plus de cette contribution écrite).

ATTENTION : Les auditions devant la commission de la transparence sont ordinairement accordées dans le cadre des autorisations d'accès précoce ; elles sont exceptionnelles dans le cadre du remboursement.

Souhaitez-vous être auditionné ?

☒ Oui si cela apparaît comme nécessaire.

☐ Non

Pour quelles raisons ?

Enfin cesser d'être obligé de dire aux personnes atteintes ou aux familles qu'il n'y pas de traitement pour la neurofibromatose de type 1. La recherche avance, lentement certes mais elle avance.

L'annonce d'un traitement possible d'une forme (particulière) de NF1 laisse espérer que d'autres avancées viendront.

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



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 personnes atteintes d'un neurofibrome plexiforme mènent souvent une vie cachée car celui-ci déforme une partie visible du corps.

Les médecins référents NF nous expliquent depuis longtemps qu'il n'existe pas de médicament sans effet(s) secondaire(s) mais nous soutenons la recherche en vue de trouver des traitements et en le sachant pertinemment.

Nous pensons que les médecins compétents en matière de neurofibromatose et en qui nous avons confiance sont à même de juger de l'efficacité potentielle d'un nouveau traitement et nous savons que nous serons tenus informés des avancées.

Vivre avec une maladie en sachant qu'il n'y a pas de traitement possible, quoi de plus invivable ?

« Un traitement par médicament serait l'idéal à domicile avec un suivi à l'hôpital. »

« Que ça marche et qu'il n'y ait pas trop d'effets secondaires sur les traitements »

« Aucune préoccupation. Je veux pas de gros effets secondaires lors de la prise. »

« aucune préoccupation j'espère pouvoir tester ce nouveau médicament »

« D'être dépendant du traitement »

« risque d'effets indésirables ? »

« Balance bénéfice risque favorable avec diminution du volume des neurofibromes sans trop d'effets secondaires. »

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



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.

Le Koselugo peut être prescrit pour des mineurs d'âge depuis 2021.

Des ados que nous connaissons prennent ce traitement et deviennent jeunes adultes, cela va de soi. Les patients mineurs, les familles et les médecins sont donc confrontés, ou le seront bientôt, à la question de la continuité de la prescription avec le passage à l'âge adulte.

Comment continuer à soigner ? Comment faire évoluer la prescription de l'ado vers l'adulte ?

Et permettre aux ados, à leurs parents d'espérer que le traitement pourra se poursuivre après l'accès à la majorité et à des doses appropriées.

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



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 interrogé nos adhérents et aussi indiqué sur les réseaux sociaux que la HAS nous demandait notre avis.

Nous les avons invités à nous dire comment ils vivaient leur maladie. Les réponses émanent au 2/3 de femmes.

Les médecins référents en matière de neurofibromatose de type 1 avec lesquels nous sommes en relation ont été informés de notre démarche mais sans qu'ils soient invités à nous faire part de leurs avis.

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

Sans objet

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

Anthony Bergeron, administrateur et Jean Michel Dubois, président de l'association, assistés par les autres membres du conseil d'administration.

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

Aucune

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

32 heures... ? Probablement plus ...

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

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr



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

