
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	8
1. Questionnaire – Partie A	9
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	9
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	9
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	11
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	13
1.3. Le médicament évalué	16
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	17
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	17
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	17
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	18
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	18
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	18
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	19
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	20
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	20
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	21
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	22
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	22
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	24
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	25
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	27
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	28

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

La HAS dispose de toutes les données médico-scientifiques, mais ne peut pas par elle-même donner les arguments de réflexion du point de vue des patients ou usagers concernés.

C'est pourquoi vous êtes invité(e)s à contribuer aux évaluations.

La Commission d'évaluation économique et de santé publique rend un avis économique sur certains de ces médicaments. La présente contribution lui sera transmise systématiquement.

L'équipe du « service engagement des usagers » se tient toujours à votre disposition pour toute question ou échange. Contact : contact.contribution@has-sante.fr / 01 55 93 71 18.



Toutes les associations ou groupes représentant les usagers du système de santé peuvent utiliser ce questionnaire.

Vous pouvez consulter les informations publiées destinées aux associations et de patients et d'usagers sur la page internet dédiée du site internet de la HAS.

Lors des premières fois, il peut être utile de recevoir des explications : il y a toujours un interlocuteur dédié pour vous répondre, vous orienter ou échanger avec vous par mail (contact.contribution@has-sante.fr) ou par téléphone (01 55 93 71 18). C'est le service Engagement des usagers qui vous répondra : il s'agit d'une équipe qui est à votre écoute.

Pour des informations détaillées sur les principes d'évaluation des médicaments par la Commission de la transparence, vous pouvez consulter les doctrines d'évaluation [en vue du remboursement](#) et [en vue d'une autorisation d'accès précoce](#). Cette lecture spécialisée n'est pas nécessaire pour remplir ce questionnaire.

NB : pour simplifier la lecture, le masculin est utilisé dans les phrases de ce questionnaire – ceci est simplement une convention de rédaction dans le présent document. [La HAS promeut l'inclusion et l'égalité sur tous les plans, y compris de genre et de sexe](#).

Note importante

Les questions de ce formulaire ne sont pas contraignantes. Elles ont pour but de vous orienter si vous les trouvez pertinentes.

Si vous le souhaitez, vous pouvez n'utiliser que les cadres « Autres » qui peuvent être agrandis autant que nécessaire.

Seules les questions de la partie administrative tout au début de ce questionnaire sont obligatoires

La CT souligne l'intérêt de disposer d'informations spécifiques à toutes les tranches d'âges, en particulier les enfants et les adolescents.

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Union nationale France Alzheimer et maladies apparentées (UNFA ou FA)

Site internet :

<https://www.francealzheimer.org/>

Adresse postale (le cas échéant) :

11, rue Tronchet – 75008 Paris

Nature de la structure :

☒ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☐ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Agréée du système de santé et reconnue d'utilité publique

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

L'Union Nationale France Alzheimer et maladies apparentées fédère, coordonne et anime 101 associations départementales.

L'UNFA est membre de Alzheimer's Disease International (ADI) ainsi que membre du conseil d'administration d'Alzheimer Europe. À l'échelle nationale, l'UNFA fait partie de France Assos Santé et siège au Conseil de la CNSA et au Conseil de l'âge du HCFEA.

Informations sur le financement de votre structure

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

☒ Oui

☐ Non



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

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

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : 17 millions
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 16 millions
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 20 millions
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 21 millions

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2023	Mécénat et partenariat	1 125k€	5.6%
	CNSA et autres partenaires publics	2 412k€	12.1%
	Don	5 857k€	29.3%
	Legs	8 819k€	44.1%
	Autres	1 783k€	8.9%

Pour plus de détails, veuillez consulter le rapport annuel 2023 en PJ et accessible ici : <https://www.francealzheimer.org/association/nos-ressources/>

Les 3 industriels/laboratoires pharmaceutiques qui ont versé des fonds ces 3 trois dernières années pour des évènements spécifiques France Alzheimer sont Lilly, Eisai et Roche.

Pour 2023, 35 partenaires sont identifiés dans le rapport annuel, dont Lilly et Eisai, aux côtés d'AG2R La Mondiale, l'Agirc-Arrco, la CNSA, Truffaut, la Fondation Roger de Spoelberch, Ircantec ou encore Malakoff Humanis.

Nous précisons que notre charte éthique prévoit que le financement des industriels pharmaceutiques ne dépasse pas 1% des ressources annuelles de l'Association et ne soit fléché que vers l'organisation d'évènements spécifiques de types journée de colloque thématique, sans lien avec l'activité directe de l'industriel.

Notre rapport annuel 2024 n'est pas encore finalisé mais nous confirmons qu'en 2024, Lilly, Eisai et Roche ont tous trois versés des fonds à l'Association dans cette limite.

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Leqembi (**LEQEMBI (Lecanémab)**) - n° interne : CT-21412)

Dénomination commune internationale (DCI) :

Lecanemab BAN2401

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

Médicament en accès précoce post-AMM

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

La maladie d'Alzheimer est une maladie complexe aux répercussions multiples pour les patients et leur famille. Il y a autant de maladie d'Alzheimer qu'il y a de personnes impactées et toutes les évolutions vont être plus ou moins différentes. Mais de manière générale, il est possible d'affirmer que dès l'apparition des premiers troubles, tout le quotidien personnel et professionnel peut être grandement impacté. Les personnes concernées, qui peuvent se retrouver quelques mois voire années, en errance diagnostique, peuvent perdre leur emploi brutalement, sans que leur maladie ait été reconnue. Le diagnostic d'une maladie d'Alzheimer résonne ensuite comme un cataclysme pour le patient, conscient des répercussions, de l'image véhiculée dans la société et du fait que c'est une maladie pour l'instant incurable.

Les conséquences sociales, psychologiques, financières s'enchainent avec beaucoup de répercussions sur la vie de famille, la vie affective et la vie sexuelle. Et tous les autres pans du quotidien sont également affectés : la mobilité, l'autonomie au fur et à mesure de l'évolution de la maladie.

La maladie d'Alzheimer souffre d'une image sociale très négative car elle cristallise les peurs associées à la maladie mentale et au vieillissement. Les images dominantes véhiculées dans la société - celles de personnes à un stade très avancé de la maladie, ayant perdu toute capacité, toute personnalité, quasiment déshumanisées - contribuent fortement à répandre ces représentations négatives. Plus grave encore, ces représentations sont sources de stigmatisation pour les personnes malades qui se retrouvent trop souvent exclues de la vie sociale. On sait par ailleurs aujourd'hui que l'image négative de la maladie est l'un des principaux facteurs du sous-diagnostic et favorise dramatiquement l'isolement social de la personne malade, du couple aidant-aidé, de toute une famille.

Il est par ailleurs essentiel de rappeler qu'une personne malade reste, malgré la maladie, une personne singulière dotée d'une personnalité, d'une histoire, de capacités propres. La perte de facultés cognitives ne prive pas immédiatement les personnes malades de toute capacité, de tout raisonnement sensé, et celles-ci sont, particulièrement à un stade débutant de la maladie, réellement capables d'exprimer leurs choix et opinions, de témoigner de leur vécu. Il faut considérer les personnes malades comme ce qu'elles sont et non pas comme ce que les représentations sociales de la maladie nous font imaginer qu'elles deviendront. Il faut redonner toute sa valeur à la parole de la personne malade car la prise de conscience espérée ne pourra se faire que par une écoute attentive et respectueuse de celle-ci.

D'un point de vue social, les personnes malades souhaiteraient conserver la place qui est la leur dans leur environnement. Pourtant, trop souvent encore, l'environnement (humain, physique, technologique) est inadapté à leur situation et elle se retrouve en situation de handicap. Par ailleurs, la prise en charge lourde que nécessitent les besoins croissants des personnes malades aboutit souvent à une surmédicalisation, un envahissement de l'environnement de la personne par des logiques thérapeutiques. Ces deux facteurs contribuent assurément à l'isolement, au repli, à la désocialisation de la personne malade.

C'est pourquoi l'association demande depuis des années à ce que l'on reconnaisse ces situations de handicap cognitif et que l'on agisse pour adapter les infrastructures et services aux besoins des personnes malades, pour favoriser leur implication dans la vie de la cité, pour permettre une meilleure intégration des dispositifs adaptés et pour faciliter l'accès aux interventions non médicamenteuses et aux nouvelles technologies.

Enfin, il est indispensable d'évoquer aussi le cas des personnes dites malades jeunes. Car la maladie d'Alzheimer est encore souvent considérée par le grand public comme une maladie de personnes âgées. Si la forte proportion des plus de 75 ans parmi les personnes malades peut expliquer ce phénomène, elle ne doit néanmoins pas faire oublier l'existence de personnes jeunes atteintes d'une maladie d'Alzheimer ou d'une maladie apparentée. Selon le Yearbook 2019 d'Alzheimer Europe¹, 55 000 personnes de moins de 65 ans vivent en France avec la maladie d'Alzheimer ou une maladie apparentée.

Minoritaires, les personnes malades jeunes sont trop souvent oubliées des discours relatifs à la maladie. Elles connaissent pourtant des situations particulièrement douloureuses, amplifiées par le manque de réponses adaptées à leurs besoins.

¹ "Dementia in Europe Yearbook" – Alzheimer Europe – 2019 https://www.alzheimer-europe.org/sites/default/files/alzheimer_europe_dementia_in_europe_yearbook_2019.pdf

Les signes qui apparaissent au début de la maladie n'étant pas toujours reconnus par les professionnels ou étant pris à tort pour des manifestations psychologiques ou psychiatriques, le diagnostic est souvent tardif. Cette errance, véritable frein à une prise en charge adaptée et précoce, a pour conséquence une évolution rapide de la maladie et de ses conséquences sur la vie sociale, professionnelle, familiale des personnes malades jeunes.

Celles-ci sont donc rapidement confrontées à des situations nécessitant une entrée en établissement. Or, là encore, l'inadéquation des lieux d'accueil et des structures de prise en charge ne permet pas de leur apporter des réponses de qualité. L'absence d'unités médicalisées dédiées, le manque de places, la lourdeur des démarches administratives pour obtenir une dérogation pour l'accueil d'une personne de moins de 60 ans dans une structure gériatrique, ou encore le peu d'établissements habilités à l'aide sociale à l'hébergement rendent l'accès aux établissements extrêmement difficile.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients² qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

On retrouve le questionnaire ADRQL (Alzheimer's Disease Related Quality of life) qui peut être utilisé pour collecter des données concernant la qualité de vie des patients en couvrant différents aspects de la vie quotidienne, l'autonomie, les relations sociales et les émotions. On peut également citer le QoL-AD (Quality of life – Alzheimer's disease) qui a été traduit et normalisé en français, simple d'utilisation avec une partie proxy pouvant être rempli par le proche aidant, mais également du personnel médical (aide-soignant par exemple). Par ailleurs, un outil spécifique mais non normalisé à ce jour, le DEMQOL (Dementia Quality of life) qui questionne des points similaires. Enfin, nous pouvons citer les SF-12 et SF-36, moins spécifiques, mais qui sont simples d'utilisation.

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*

² 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.

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 ?

La maladie d'Alzheimer a ceci de particulier qu'elle implique très fortement l'entourage de la personne malade. Lorsque le diagnostic est posé, c'est l'ensemble du système familial qui s'en trouve affecté. Nombreux sont les aidants dont la vie se trouve dès lors totalement engagée auprès d'un proche malade. Les conséquences de la maladie demandent aux aidants une attention de tous les instants, et ce dans l'ensemble des gestes du quotidien.

Ils sont alors confrontés à une charge, affective et physique certes, mais également financière, extrêmement forte, susceptible de provoquer des situations d'épuisement et de fragilité psychologique. Les aidants sont d'ailleurs eux-mêmes confrontés à d'importants problèmes de santé. Des travaux réalisés par l'Institut national de prévention et d'éducation pour la santé (INPES)³, devenu Santé publique France en mars 2016, démontraient déjà qu'environ un tiers des aidants était à l'époque pris en charge pour une affection de longue durée (cancer, diabète, insuffisance cardiaque). Les conséquences de l'aide peuvent donc être dramatiques et venir renforcer l'isolement social.

Par ailleurs, nombreux et peu remboursés, la plupart des coûts liés à la maladie, sont laissés à la charge des personnes malades et de leurs proches (en l'absence de traitement curatif, les dépenses engagées dans le cadre de la maladie d'Alzheimer relèvent pour 70 % d'entre elles du médico-social. Ainsi, malgré la prise en charge à 100 % de la maladie d'Alzheimer par l'Assurance Maladie, au titre d'affection longue durée (ALD 15), la majorité des charges supportées par les familles ne fait en réalité l'objet d'aucun remboursement par la Sécurité sociale). Obligées de pallier les manques d'une prise en charge publique, les familles sont donc confrontées à des situations financières auxquelles elles ne peuvent plus faire face et qui conditionnent bien souvent leurs choix de prise en soin.

Il est important de noter que les transformations sociétales à l'œuvre telles que le recul de l'âge de départ à la retraite, une entrée plus tardive dans la vie professionnelle, ou encore la participation accrue des femmes au marché du travail, modifient en profondeur le paysage de l'aide informelle. En conséquence, de plus en plus nombreux sont les aidants contraints de concilier ce rôle avec l'exercice d'une activité professionnelle. Les répercussions de cette situation sur le travail sont nombreuses : stress, fatigue, faible concentration, moindre disponibilité... Les aidants de personnes vivant avec une maladie d'Alzheimer, comme tous les aidants, déclarent très souvent et dans de nombreuses études avoir des difficultés à concilier ce rôle avec leur vie professionnelle. Dans le même temps, la majorité d'entre eux souhaiteraient conserver leur activité, pour d'une part maintenir leur niveau de revenus, et d'autre part préserver les liens sociaux entretenus dans le cadre professionnel⁴.

³ Pin Le Corre S. Le regard porté sur la maladie d'Alzheimer par les personnes malades et leurs aidants familiaux. Saint-Denis: Institut national de prévention et d'éducation pour la santé; 2010.

⁴ Données issues d'une enquête menée en 2016 par France Alzheimer et maladies apparentées auprès d'aidants en activité professionnelle

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 thérapeutiques existantes :

4 traitements symptomatiques : ARICEPT (donépézil), EBIXA (mémantine), EXELON (rivotrigmine), REMINYL (galantamine).

Déremboursés depuis le 1er août 2018 suite à une décision de la commission de transparence de la HAS à laquelle s'est fortement opposée France Alzheimer. Cf. le sondage effectué quelques mois après : <https://www.francealzheimer.org/sondage-edifiant-sur-le-deremboursement-des-medicaments-anti-alzheimer-france-alzheimer-agit/>

En tant que représentante des patients, des familles et des usagers du système de santé, France Alzheimer et maladies apparentées a exprimé ses craintes et interrogations suite à l'annonce du déremboursement des médicaments anti-symptomatiques, dits « anti-Alzheimer » :

- La prescription des médicaments participe grandement au maintien d'un lien thérapeutique entre le médecin et le patient. Le déremboursement a pu avoir pour conséquence de briser ce lien et de freiner toute démarche diagnostique, préalable indispensable à un parcours de soins coordonné et approprié (avec un accès aux dispositifs d'aide et de soutien). Des personnes ont jugé encore moins utile de poser un diagnostic pour identifier la cause de leurs symptômes si l'éventualité d'une thérapeutique médicamenteuse est d'emblée écartée. Déjà aujourd'hui, 1 personne sur 3 ne serait pas diagnostiquée.
- Un déremboursement des spécialités « anti-Alzheimer » a provoqué naturellement une diminution des prescriptions. Or, les spécialités « anti-Alzheimer » peuvent avoir un effet positif sur les troubles du comportement (notamment en ce qui concerne la maladie à corps de Lewy – cf. témoignage du Dr Pinsard). Il est donc à craindre :
 - une augmentation des prescriptions de neuroleptiques et de psychotropes alors même que ces classes pharmaceutiques sont d'utilisation délicate chez les personnes âgées, et même contre indiquées dans certaines maladies apparentées,
 - une aggravation précipitée des troubles cognitifs du fait d'une interruption de l'action pharmacologique (arrêt brutal de la prise des médicaments). Ce qui, au-delà de l'aggravation évidente de l'état de santé, a de lourdes conséquences sur la capacité de maintien à domicile de la personne malade, pourtant privilégiée par les pouvoirs publics.
- Le déremboursement des traitements symptomatiques a eu pour conséquence immédiate une augmentation du reste à charge pour les familles, celui-ci étant déjà très important. Les médicaments, encore prescrits aujourd'hui, sont dorénavant réservés exclusivement aux personnes ayant les moyens de se les offrir, ce qui favorise encore davantage l'avènement d'un système de soins à deux vitesses.
- La réduction de l'accès aux médicaments anti-symptomatiques provoquée par la décision de déremboursement constitue une perte de chance pour les patients potentiellement répondeurs. Pour ces derniers, l'option médicamenteuse demeure une alternative pertinente à laquelle ils ont droit. Naturellement, cette option doit exister aux côtés des thérapeutiques non médicamenteuses. **La notion de complémentarité est ici essentielle**. Un panel doit être offert aux patients en fonction de leurs besoins.
- La France est devenue, avec cette décision du 1^{er} août 2018, l'un des 3 seuls pays en Europe, à ne plus rembourser, entièrement ou partiellement, ces traitements symptomatiques !

Réactions d'Alzheimer Europe à l'annonce du déremboursement en France :

Alzheimer Europe interpelle le ministère de la santé français pour le maintien du remboursement des médicaments prescrits aux personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer

Lors de sa réunion du 26 juin 2018, le Conseil d'Administration d'Alzheimer Europe a condamné la récente décision prise par le gouvernement français de dérembourser les thérapies médicamenteuses prescrites aux personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer ou d'une maladie apparentée.

L'organisation européenne a également exprimé sa vive inquiétude quant au sensationnalisme de certains médias français affirmant que ces médicaments « avaient tué plus de personnes qu'elles n'en avaient aidées » et ceci sur des bases dépourvues de tout fondement scientifique.

Alors que nous n'avons jamais nié le fait que ces médicaments s'attaquent uniquement aux symptômes de la maladie, d'un certain nombre de personnes sur une période de temps limitée, Alzheimer Europe tient à réitérer son positionnement en faveur du maintien du remboursement de ces traitements :

- Suffisamment de preuves cliniques existent pour promouvoir leur utilisation dès lors que des essais cliniques ont, eux, prouvé leur efficacité, pas seulement dans l'amélioration de la mémoire, mais également quant à leurs effets bénéfiques sur le comportement, les activités de la vie quotidienne et le bien-être. Des méta-analyses successives ainsi que des revues Cochrane ont toutes confirmé cette efficacité.
- Ces données cliniques sur l'efficacité des médicaments « anti-Alzheimer » sont soutenues par les témoignages d'un grand nombre de personnes malades et de leurs aidants.
- L'ensemble des recommandations sur le sujet, telles que les directives de la Fédération Européenne des Sociétés de Neurologie (EFNS) sur le diagnostic et la prise en charge de la maladie d'Alzheimer, soutiennent l'utilisation de ces thérapeutiques.
- Aucun risque significatif pour la santé n'a été identifié au sein du système de pharmacovigilance de l'Agence Européenne des Médicaments.
- L'existence de ces traitements a contribué au développement de la prise en soin des personnes atteintes de maladies neurodégénératives à travers l'augmentation du nombre de consultations mémoire et d'autres dispositifs spécifiques permettant un diagnostic au moment opportun ainsi que des conseils et un accompagnement adaptés aux personnes malades et à leurs aidants.
- L'arrêt des prescriptions des spécialités « anti-Alzheimer » risque d'éloigner le patient de toute démarche diagnostique et ne lui permettra plus de bénéficier des avantages d'un diagnostic précoce.
- Les citoyens européens devraient bénéficier d'un égal accès aux droits en termes de protection et d'accès aux soins quel que soit leur pays de résidence.

Ainsi, Alzheimer Europe regrette que les personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer en France ne puissent bénéficier de traitements remboursés comme c'est le cas dans d'autres pays européens. Par conséquent, Alzheimer Europe et ses organisations membres soutiennent sans condition la campagne actuelle de communication et la pétition en ligne de France Alzheimer et maladies apparentées qui appelle au maintien du remboursement de ces médicaments.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le principal avantage de ces traitements est le fait qu'ils puissent être pris à domicile, sous le contrôle d'un aidant pour les cas de maladie d'Alzheimer les plus avancées. De plus, puisqu'il s'agit de traitements symptomatiques, ils peuvent être prescrits à tous types de patients Alzheimer, en fonction de la déclaration de leurs symptômes. Ils peuvent représenter un véritable soutien au quotidien de l'aidant car les principaux symptômes étant sous contrôle le maintien et le quotidien à domicile sont accompagnés et soutenus.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les traitements n'étant pas curatifs mais symptomatiques, ils ne permettent pas de traiter la maladie ce qui limite clairement leur utilité. Cependant, le plus grand inconvénient reste leur déremboursement qui affecte le reste à charge des familles et qui, comme le montre l'étude Ben Hassen et al. 2022 ou les chiffres de *Data Pathologies* d'Ameli, affecte également leur administration puisqu'en 10 ans, la prescription de ces médicaments a chuté de 86%, malgré un intérêt clinique avéré. Cette décision, controversée et dénoncée par les familles mais également les professionnels de santé, a véhiculé un mauvais message concernant leur efficacité et grandement contribué à la diminution de la prise en charge de la maladie, ainsi que de son diagnostic dans les phases les plus précoces. Cela a amplifié également la prescription d'antidépresseur. Ce sont de graves conséquences qui doivent amener à une réévaluation de ces traitements pour leur prise en charge par l'Assurance maladie. La France ne peut pas rester l'un des 3 seuls pays à ne pas les rembourser en totalité ou en partie alors qu'Alzheimer's Disease International (ADI) souhaite les voir inscrits dans la liste des traitements essentiels de l'Organisation mondiale de la Santé (OMS). Mais ceci est un point abordé dans un dossier dédié.

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

Le manque de solution thérapeutique est un constat flagrant dans une pathologie qui n'a, aujourd'hui, aucun espoir de guérison et dont la prise en charge côté interventions non médicamenteuses est encore trop faible. Leur efficacité est pourtant de plus en plus reconnue mais il faut accélérer leur reconnaissance et leur accessibilité financière et géographique. Ces interventions sont une évidence dans le parcours de soins et d'accompagnement du patient aujourd'hui. Par ailleurs, la nécessité de développer et de proposer une nouvelle approche thérapeutique pour les personnes souffrant de la maladie d'Alzheimer devrait être perçue comme un enjeu national de santé publique tant la prévalence de la maladie est inquiétante avec des estimations à l'horizon 2050 alarmante selon Alzheimer Europe⁵.

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 spor-*

⁵ https://www.alzheimer-europe.org/sites/default/files/alzheimer_europe_dementia_in_europe_yearbook_2019.pdf

tives ;

- 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.

Au regard des résultats présentés par le laboratoire, ainsi que la concordance de ces résultats avec d'autres traitements au fonctionnement similaire, il semblerait adéquat de proposer ce type de traitement uniquement pour les patients souffrant d'une maladie d'Alzheimer à un stade précoce, pour maximiser les résultats tout en diminuant l'apparition d'effets secondaires pouvant avoir des conséquences désastreuses. Cependant, nous ne devons pas oublier la majorité des patients, qui ont quitté le stade précoce de la maladie d'Alzheimer, évoluant vers des formes plus sévères et qui, eux, n'ont pas le droit à ce traitement.

Aussi, et pour répondre à ce besoin thérapeutique spécifique, il est important de souligner que la recherche doit continuer et que ces avancées doivent également dynamiser le secteur de la recherche dans le domaine, sans négliger la recherche en sciences humaines et sociales.



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

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

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

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

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

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



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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

En tant qu'association de famille, nous attendons de ce traitement qu'il puisse offrir une véritable réponse thérapeutique aux patients éligibles et du répit aux familles touchées par la maladie d'Alzheimer. Pour les stades les plus précoces de la maladie, ceux ciblés par ce traitement, nous souhaitons voir une stabilisation ou, à minima, une diminution du déclin cognitif pour favoriser l'autonomie et le maintien à domicile le plus longtemps possibles. Le tout étant de respecter les choix d'accès aux traitements des patients eux-mêmes et de leurs familles. C'est un droit d'accès qu'il nous faut respecter après diffusion d'une information claire et responsable sur les traitements et leurs effets secondaires.

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 ?

Notre principale crainte concerne l'accessibilité du traitement à l'ensemble des patients éligibles. La France présentant une inégalité territoriale importante, il est important que tous les Français puissent profiter des innovations thérapeutiques, sans prendre en compte le statut social, la situation financière ainsi que la situation géographique.

Il faut pouvoir garantir que chaque patient qui en a besoin et répond aux critères d'éligibilité, où qu'il se trouve en France (outre-mer compris), puisse avoir accès à ce traitement. Il faut garantir un taux de prise en charge et de remboursement visant à remplir ces objectifs d'accessibilité et d'égalité. Nous avons conscience des obligations de suivi qu'impose ce type de traitement ainsi que les dépenses que cela représente pour notre système de santé. Néanmoins, il nous semble important qu'avec l'arrivée d'une thérapeutique tant attendue par les familles, cette innovation puisse profiter au plus grand nombre, sans discrimination financière, d'autant plus que ces familles ont à leur charge depuis 2018, date de leur déremboursement, les seuls médicaments autorisés aujourd'hui sur le territoire. Fait notable, la France est devenu ainsi, l'un des 3 seuls pays européens à ne pas rembourser ces médicaments. Nous rappelons par ailleurs que, nombreux, peu remboursés, la plupart des coûts liés à la maladie sont laissés à la charge des personnes malades et de leurs proches. Obligées de pallier les manques d'une prise en charge publique véritablement adaptée à leurs besoins, les familles sont confrontées à des situations financières auxquelles, pour beaucoup, elles ne peuvent pas faire face et qui conditionnent bien souvent leurs choix de prise en soin.

Dans un second temps, la gestion des patients nous semble être un sujet épineux qui, bien qu'en cours de discussion au sein de la Fédération des Centres Mémoires, pourrait poser problème si l'estimation du nombre de patients éligibles s'avère fausse.

Il semble donc nécessaire que le gouvernement prenne les devants et s'assure de doter les professionnels de santé des ressources nécessaires pour mener à bien leurs missions et accompagner au mieux les patients éligibles, grâce à un cadre adapté et garantissant la sécurité des pratiques et de l'administration.

Tout en consolidant le parcours de soins de tous les autres patients, à tous les stades de la maladie qui ont également besoin de réponses adaptées et évolutives.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)



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 notamment⁶ 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).*

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.

⁶ 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 fin⁷.



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,

⁷ Également appelées « variables d'intérêt »

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

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

☐ Oui

☐ Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



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

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

☒ Oui

☐ Non

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

Nom – Prénom : DURAND Benoît et GILLY Lorène

Adresse mail : b.durand@francealzheimer.org / l.gilly@francealzheimer.org

Téléphone : 01 42 97 53 05 / 01 42 97 52 87

Pour quelles raisons ?

Pour porter haut et fort la voix des familles, la voix des personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer et leurs proches aidants. Ces traitements les concernent directement et il n'est plus possible, de nos jours, d'envisager des évolutions sans prendre connaissance et tenir compte de l'avis exprimé par les personnes directement concernées. « *Rien pour nous sans nous* » déclarent régulièrement les personnes malades qui ont des choses à dire, des désespoirs à crier et des espoirs à faire entendre.

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 maladie d'Alzheimer est une affection complexe qui impacte profondément la vie des patients et de leurs familles. Chaque parcours est unique, mais la maladie perturbe généralement le quotidien, affectant le travail, la mobilité, l'autonomie, ainsi que les relations familiales et affectives. Le diagnostic est souvent retardé, ce qui peut entraîner une perte d'emploi avant même que la maladie soit reconnue. La maladie, encore incurable, est stigmatisée socialement, renforçant l'isolement des malades. Ce rejet est exacerbé par les représentations négatives de la maladie, notamment l'image de la fatalité, et de personnes déshumanisées à des stades avancés.

Malgré la perte de certaines capacités cognitives, les personnes atteintes de la maladie d'Alzheimer restent des individus à part entière avec une histoire et des choix. Il est crucial de les considérer selon leur réalité et non selon les stéréotypes sociaux. Elles aspirent à conserver leur place dans la société, mais l'inadéquation des infrastructures et des soins aggrave leur isolement. L'association milite pour la reconnaissance du handicap cognitif et l'adaptation des services à leurs besoins, ainsi que pour la promotion des interventions non médicamenteuses.

En outre, les malades jeunes, souvent négligés dans les discours publics, rencontrent des difficultés supplémentaires, notamment un diagnostic tardif et l'absence de structures adaptées. Les jeunes malades sont souvent contraints d'intégrer des établissements gériatriques non prévus pour leur tranche d'âge, ce qui complique leur prise en charge.

Les thérapeutiques actuelles ne permettent pas de répondre aux attentes des patients et de leur famille. Aujourd'hui, aucun traitement curatif n'est disponible et les 4 traitements autorisés ne sont que symptomatiques et ont été déremboursés depuis 2018, laissant un reste à charge conséquent aux familles se trouvant déjà dans une situation difficile liée à la maladie. De plus, suite à ce déremboursement, praticiens comme familles peinent à croire en leurs bénéfices cliniques, malgré des études montrant le contraire, ce qui exacerbe d'autant plus le sentiment de désespoir thérapeutique que peuvent présenter les personnes malades et leurs proches.

Le médicament étudié offre un nouvel espoir pour toutes ces personnes confrontées à la maladie d'Alzheimer au quotidien. Il ne permettra pas de guérir la maladie, mais il s'agit du premier médicament de seconde génération agissant sur l'un des facteurs clés de la maladie. Les patients attendent beaucoup de ces traitements, notamment une stabilisation de leur état ainsi qu'une diminution du déclin cognitif pour rester autonome plus longtemps et à domicile, ce qui permettrait d'améliorer le confort des individus malades tout en permettant une meilleure prise en charge des cas les plus sévères au sein de centres spécialisés, adaptés et plus disponibles pour répondre à leur besoin.

Malgré une mobilisation constante des associations départementales, France Alzheimer reste impuissant face à la maladie sans l'aide d'outil thérapeutique efficace. Nous espérons que ce traitement pourra offrir une première lueur d'espoir, rapidement suivi par d'autres, pour mieux prendre en charge les personnes malades et leurs proches. Toutefois, la cible thérapeutique de ces médicaments va imposer des changements drastiques dans le parcours de soin qu'il nous faudra anticiper pour offrir à la population française les meilleures chances de réussite et dans des conditions de sécurité optimales. En attendant, nous continuerons de proposer des alternatives non médicamenteuses qui ont fait leur preuve malgré leurs limites, et de nous mobiliser pour accompagner quotidiennement ces milliers de familles impactées par 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.

Il est essentiel de s'assurer, ensemble, que la communication autour de ces traitements (en cours et à venir – documents ou en dématérialisé) respecte les personnes vivant avec la maladie d'Alzheimer et leurs proches aidants dans les termes utilisés pour les présenter, qu'il respecte le souci d'inclusivité et de déstigmatisation liée à cette pathologie. Certains termes peuvent contribuer à la stigmatisation et l'isolement des personnes concernées, du fait des préjugés et idées reçues qu'ils véhiculent. Cette image contribue à l'isolement, à l'éloignement d'une démarche diagnostique au moment opportun et à diminuer les chances d'une entrée nécessaire dans un parcours de soins et de vie avec la maladie, coordonné et adapté aux besoins de la personne et de son entourage.

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 nous sommes reposés sur nos quarante années d'expertises et de plaidoyer que nous utilisons au quotidien pour faire valoir les besoins des familles que nous représentons. Sur les points politiques et sociaux, nous nous sommes reposés sur les collaborateurs dédiés à ces questions, et en ce qui concerne les questions médicales, nous nous sommes reposés sur l'expertise des membres de notre service recherche.

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

Par transparence nous n'avons pas rempli la partie dédiée à l'expérience du traitement 1.3.2. Concernant nos autres commentaires, nous nous sommes reposés sur les verbatim collectés par nos différentes associations concernant les attentes, les besoins et les sollicitations des familles et les témoignages recueillis au sein de nos 101 associations départementales qui, au quotidien, apportent écoute et soutien aux familles concernées.

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

Lorène Gilly : Responsable du suivi des Politiques publiques

Benoît Durand : Directeur délégué

Joel Jaouen : Président de l'Union Nationale France Alzheimer et maladies apparentées

Kevin Rabiant : Docteur en neurosciences et responsable du service Etudes et recherche

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 complétion de ce document nous a pris environ 2 heures.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

Conception du questionnaire

Ce questionnaire a été construit en collaboration avec des représentants associatifs via un groupe de travail dédié. Pour plus d'information, [cliquez ici](#).

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

