
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	11
1. Questionnaire – Partie A	12
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	12
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	12
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	18
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	20
1.3. Le médicament évalué	22
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	23
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	23
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	23
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	25
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	25
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	25
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	25
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	27
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	27
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	28
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	29
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	29
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	31
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	32
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	34
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	35

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) :

Association Renaloo

Site internet :

www.renaloo.com

Adresse postale (le cas échéant) :

c/o Le Gymnase / 29 bis Rue Buffon, 75005 Paris

Nature de la structure :

☒ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☐ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

France Assos Santé, FAS (<https://ekpf.eu/>)

European Kidney Patients Federation, EKPF (<https://ekpf.eu/>)

European Kidney Health Alliance, EKHA (<https://ekha.eu/>)

European Rare Kidney Disease Reference Network, ERKNet (<https://www.erknet.org/>)

European Organisation for Rare Diseases, Eurordis (<https://www.eurordis.org/>)

Global Patient Alliance for Kidney Health, GLoPAKH (<https://globalkidneyalliance.org>)

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Kinpeygo

Dénomination commune internationale (DCI) :

Budesonide

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

Nouveau médicament dans le traitement des adultes atteints de néphropathie à immunoglobulines A primitive avec une protéinurie $\geq 1,0$ g/jour.

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 ?

a. Résultats préliminaires d'un focus group organisé en avril 2025 auprès de personnes vivant avec la néphropathie à lga

La maladie de Berger (néphropathie à IgA) est une pathologie insidieuse et implacable. Elle touche principalement des personnes jeunes, et les accompagne pendant des décennies, toute leur existence durant. La plupart des patients évoluent vers l'insuffisance rénale au cours de leur vie.

L'arsenal thérapeutique est à ce jour limité, aucun traitement curatif n'existe aujourd'hui. La maladie conduit fréquemment à la nécessité du recours à la dialyse ou à la greffe, qui constituent des cataclysmes bouleversant l'existence de personnes jeunes, actives, confrontées prématurément avec une chronicité lourde, un impact majeur sur leur qualité de vie et une réduction importante de leur espérance de vie. **Ainsi, une femme qui parvient au stade de l'insuffisance rénale terminale à l'âge de 40 ans en France aura une espérance de vie résiduelle de 10 ans si elle est traitée**

exclusivement par dialyse, et de 21 ans si elle est immédiatement et durablement greffée¹. Dans la population générale, une femme de 40 ans peut espérer vivre encore 46 ans.

Face à ces constats, Renaloo a souhaité disposer de données qualitatives fines sur cette population et a organisé en juin 2025 un premier focus groupe consacré à la néphropathie à IgA et à son impact sur la vie des patients, sous l'égide du Pr Christian Baudelot, professeur émérite de sociologie à l'École Normale Supérieure, vice-président de Renaloo, et de Daniela Rojas Castro, experte en psychologie sociale et recherche participative.

Ce qui suit est une analyse partielle et préliminaire de ce focus group.

- **Population du focus group**

Effectif total : 9 personnes atteintes de néphropathie à IgA, issues de différentes régions de France métropolitaine.

- **Genre** : 6 hommes / 3 femmes.
- **Âge** : 3 participants de 18–39 ans, 4 de 40–59 ans, 2 de plus de 60 ans.

Profil socio-professionnel

- Niveau d'instruction élevé : 7 diplômes $\geq$ bac + 2.
- 7 personnes en activité professionnelle, 1 en arrêt maladie, 1 retraitée.
- Représente un biais classique des personnes engagées dans des actions associatives.

Situation médicale

- 5 personnes transplantées (dont 1 seconde greffe).
- 1 personne en dialyse.
- 3 personnes à un stade pré-suppléance.

Ancienneté du diagnostic

- 2 participants : plus de 10 ans.
- 5 participants : 5 à 10 ans.
- 2 participants : 1 à 5 ans.

En résumé : un groupe restreint mais diversifié, reflétant la pluralité des parcours et des expériences de la néphropathie à IgA.

- **Résultats du focus group**

L'objectif du focus groupe était d'explorer non seulement le vécu médical, mais aussi les dimensions sociales, relationnelles et identitaires de la maladie.

« C'était la première fois que je pouvais échanger avec d'autres patients atteints de la même maladie. »

« Ça m'a rassuré de voir que je n'étais pas seul dans cette situation. »

Le diagnostic : errance et révélation

¹ Rapport REIN 2022

Le diagnostic survient souvent après une longue errance (symptômes banalisés, découvertes fortuites), générant un sentiment d'invisibilité.

« On m'a baladé de service en service avant le bon diagnostic. »

Parcours de soins : inégalités, violences institutionnelles et médicales

Délais variables selon les régions (ex. : 1 an d'attente pour une biopsie en Martinique).

Erreurs administratives (ex. : non-inscription sur liste de greffe).

« J'ai découvert que je n'étais pas inscrit sur la liste d'attente, alors qu'on m'avait dit le contraire. »

Dialyse en urgence vécue comme une violence (absence de préparation).

« On m'a imposé la dialyse du jour au lendemain, sans préparation psychologique. »

Impacts relationnels, socio-économiques et identitaires

Isolement : difficultés à en parler, perte d'amis, vie intime et parentalité perturbées.

« Vie sexuelle terminée, vie sentimentale en danger, vie affective grandement. »

« J'ai perdu des amis, et je me suis aussi éloigné d'eux. »

Précarisation professionnelle : licenciements, reconversions forcées, dépendance aux dispositifs sociaux et stigmatisation

« J'ai perdu mon emploi à cause de mes absences répétées. »

Perte de reconnaissance : le travail, vecteur d'identité, est remis en cause.

« Je ne me définis plus par mon métier, mais par ma maladie. »

Représentations et expériences de la dialyse

La dialyse est décrite comme une expérience brutale et contraignante. Elle symbolise une perte d'autonomie, une vie suspendue au rythme des machines.

« On m'a mis en dialyse du jour au lendemain, sans préparation. »

« La dialyse, c'est comme si ma vie tournait autour d'une machine. »

« On devient prisonnier de l'hôpital. »

Un fardeau psychologique majeur : anxiété, incertitude, perte de projection

La maladie est vécue comme une épée de Damoclès, générant fatigue, peur de l'avenir, et parfois désespoir.

« Avant ma greffe, j'avais perdu espoir, je n'arrivais plus à me projeter. »

« À 30 ans, j'avais des envies suicidaires. »

Attentes thérapeutiques : espoir et frustration

Manque de traitements spécifiques : sentiment d'abandon

« On nous dit seulement d'avoir une vie saine... c'est comme attendre que les reins lâchent ».

Innovation : espoir de ralentir la maladie, mais crainte d'inégalités d'accès (régions, âge, stade de la maladie).

« On a l'impression que ça dépend de la région où on vit, et ça, c'est injuste. »

• Conclusion

L'expérience des personnes atteintes de néphropathie à IgA illustre une condition de vulnérabilité multiple : errance et invisibilité médicale, inégalités de parcours, stigmatisme social.

Chaque examen, chaque résultat biologique porte une incertitude sur l'avenir et devient une source d'anxiété. La perspective de voir ses reins se dégrader, parfois jusqu'à la dialyse ou la greffe, bouleverse tous les aspects de l'existence : études, travail, projets familiaux, vie sociale. La maladie n'affecte pas seulement la santé, elle redessine le temps, les priorités et les possibles. Et cela ne s'arrête pas, c'est pour la vie, la maladie évolue, détruit les reins, récidive sur les greffons, c'est une malédiction durable à laquelle seuls des traitements enfin efficaces pourront mettre fin.

b. Expertise et l'expérience associative de Renaloo de l'impact majeur de l'insuffisance rénale sur les patients.

Éléments plus généraux sur la qualité de vie

L'impact sur la qualité de vie de l'insuffisance rénale est important.

- Les patients souffrant d'insuffisance rénale présentent une charge symptomatique (fatigue, douleurs, etc.) similaire ou supérieure à celle des patients atteints de cancers en phase terminale^{2 3}.
- Au moins 45 % des patients ayant une maladie rénale chronique avant le stade de la dialyse ou de la greffe rapportent une fatigue, une mobilité réduite, des douleurs osseuses et/ou articulaires, de la somnolence, des insomnies et/ou un sommeil insuffisant, de l'anxiété, des douleurs, un dysfonctionnement sexuel, des crampes musculaires, des troubles gastro-intestinaux, des dyspnées, des démangeaisons, des brûlures d'estomac ou des œdèmes⁴.
- Les enfants atteints d'insuffisance rénale chronique ont une moins bonne qualité de vie que ceux atteints de diabète de type 1 ou que les survivants d'un cancer⁵.
- Leurs résultats scolaires et leur devenir professionnels sont fortement compromis^{6 7 8}.

² Jhaveri, K.D., Bensink, M.E., Bunke, M. et al. Humanistic and Economic Burden of IgA Nephropathy: Systematic Literature Reviews and Narrative Synthesis. *Pharmacoeconomics Open* 7, 709–722 (2023). <https://doi.org/10.1007/s41669-023-00415-0>

³ Kalantar-Zadeh, K. et al. Patient-centred approaches for the management of unpleasant symptoms in kidney disease. *Nat. Rev. Nephrol.* **18**, 185–198 (2022).

⁴ Fletcher, B. R. et al. Symptom burden and health-related quality of life in chronic kidney disease: a global systematic review and meta-analysis. *PLOS Med.* **19**, e1003954 (2022).

⁵ Francis, A. et al. Quality of life of children and adolescents with chronic kidney disease: a cross-sectional study. *Arch. Dis. Child* **104**, 134–140 (2019).

⁶ Mizerska-Wasiak M, Adamczuk D, Cichoń-Kawa K, Miklaszewska M, Szymanik-Grzelak H, Pietrzyk JA, Pukajło-Marczyk A, Zwolińska D, Rybi-Szumirńska A, Wasilewska A, Bieniaś B, Sikora P, Firszt-Adamczyk A, Stankiewicz R, Szczepańska M, Pańczyk-Tomaszewska M. Health-related quality of life in children with immunoglobulin A nephropathy - results of a multicentre national study. *Arch Med Sci.* 2020 Nov 24;17(1):84-91. doi: 10.5114/aoms.2020.100367. PMID: 33488859; PMCID: PMC7811315.

Qualité de la prise en charge avant le stade terminal

Les patients de moins de 60 ans, pourtant touchés par des formes rapidement progressives (la néphropathie à IgA étant la plus fréquente), semblent moins bien suivis avant le stade terminal, selon l'Assurance Maladie⁹ (rapport Charges et Produits 2025). Ce déficit de suivi aggrave leur pronostic.

Dialyse : un fardeau médical, social et économique

La dialyse ne remplace que très partiellement la fonction d'un rein normal. Elle est donc associée à une urémie persistante et à ses conséquences.

- L'espérance de vie en dialyse reste très diminuée, le fardeau des symptômes est considérable et la qualité de vie est profondément altérée¹⁰¹¹¹².
- La survie relative à 5 ans des patients en dialyse en France (51%)¹³ est inférieure à celle des patients atteints d'un cancer de la prostate, de la peau, du sein, du col de l'utérus, du côlon ou des ovaires¹⁴.
- Les patients hémodialysés âgés de 45 à 49 ans ont une espérance de vie d'environ 11,7 ans¹⁵, inférieure à celle de la population générale de 75 à 79 ans¹⁶.
- L'espérance de vie d'un jeune adulte de 18 ans dialysé est inférieure de 40 ans à celle de la population générale et de 17 ans s'il est greffé, respectivement¹⁷.

⁷ Kim, S. et al. Cognitive and academic outcomes in children with chronic kidney disease. *Pediatr. Nephrol.* **37**, 2715–2724 (2022).

⁸ Khalid, R. et al. Association between socioeconomic status and academic performance in children and adolescents with chronic kidney disease. *Pediatr. Nephrol.* **37**, 3195–3204 (2022).

⁹ Rapport au ministère chargé de la Sécurité sociale et au Parlement sur l'évolution des charges et des produits de l'Assurance Maladie au titre de 2025 (loi du 13 août 2004) « Améliorer la qualité du système de santé et maîtriser les dépenses : Propositions de l'Assurance Maladie pour 2025 »

¹⁰ United States Renal Data System. US Renal Data System 2019 Annual Data Report: epidemiology of kidney disease in the United States. https://www.usrds.org/2019/view/USRDS_2019_ES_final.pdf (2019).

¹¹ Davison SN, Jhangri GS, Johnson JA. Cross-sectional validity of a modified Edmonton symptom assessment system in dialysis patients: a simple assessment of symptom burden. *Kidney Int.* 2006;69:1621–1625. doi: 10.1038/sj.ki.5000184.

¹² Weisbord SD, et al. Renal provider recognition of symptoms in patients on maintenance hemodialysis. *Clin. J. Am. Soc. Nephrol.* 2007;2:960–967. doi: 10.2215/CJN.00990207.

¹³ Rapport REIN 2021

¹⁴ <https://www.e-cancer.fr/Expertises-et-publications/Les-donnees-sur-les-cancers/Survie-des-personnes-atteintes-de-cancer-en-France-metropolitaine/Tumeurs-solides>

¹⁵ Rapport REIN 2021

¹⁶ INSEE

¹⁷ <https://academic.oup.com/ndt/advance-article/doi/10.1093/ndt/gfae189/7740796>

- La qualité de vie des patients dialysés est très fortement diminuée par rapport à celle de la population générale, en faisant une des pathologies entraînant la plus forte dégradation de la qualité de vie¹⁸.
- Pour les patients dialysés, le score résumé de la composante physique de l'enquête Short Form Health Survey (SF-36) en 36 points est seulement de 36 sur 100¹⁹.

Impact sur la vie sociale et professionnelle

En France, moins de 18% des patients dialysés et 52% des patients transplantés en âge de travailler ont une activité professionnelle²⁰, contre 82% en population générale. 66 % des patients dialysés vivent en dessous du seuil de pauvreté, contre 14% de la population générale.

Greffe : une amélioration significative, mais des défis persistants

La greffe restaure de façon significative la qualité de vie (autonomie, insertion professionnelle, bien-être psychologique), surtout si elle est préemptive (avant la dialyse) ou issue d'un donneur vivant. Cependant, elle n'est pas une guérison (immunosuppression à vie, risques de rejet).

Ces résultats plaident en faveur du développement des stratégies de dépistage précoce, de l'inscription rapide sur liste et de la promotion du don du vivant, afin de maximiser les chances d'accès à la greffe préemptive.

L'insuffisance rénale terminale doit être traitée de préférence par transplantation rénale (HAS 2015) - les patients atteints de néphropathie à IgA ayant en général peu de contre-indications à la greffe - à défaut par dialyse. Cependant :

- L'inscription sur liste d'attente de greffe reste fréquemment tardive en France²¹.
- Les délais d'attente pour une greffe de donneur décédés sont croissants, en particulier pour les patients jeunes²².
- La greffe rénale de donneur vivant, considérée comme le meilleur traitement, représente environ 16% des greffes rénales en France. Elle reste insuffisamment développée au regard des pratiques de pays voisins, comme le Royaume-Uni (29%) ou les Pays-Bas (40%).

Pour ces raisons, la greffe préemptive, bien qu'elle constitue le traitement de choix, reste malheureusement insuffisamment accessible, conduisant à des périodes parfois longues de dialyse avant la greffe.

¹⁸ Speyer E, Briançon S, Jacquelinet C, Beauger D, Baudelot C, Caille Y, et al. Qualité de vie des personnes en insuffisance rénale chronique terminale en France en 2011. *Bull Epidemiol Hebd.* 2014;(37-38):623-30. http://www.invs.sante.fr/beh/2014/37-38/2014_37-38_4.html

¹⁹ Fletcher, B. R. et al. Symptom burden and health-related quality of life in chronic kidney disease: a global systematic review and meta-analysis. *PLOS Med.* 19, e1003954 (2022).

²⁰ <https://renaloo.com/travailler-avec-la-dialyse-ou-la-greffe-un-defi-les-resultats-d-une-grande-enquete/>

²¹ La HAS recommande que l'inscription sur liste d'attente de greffe soit réalisée entre 12 et 18 mois avant le démarrage prévisible de la dialyse. Cependant, l'accès à la liste d'attente des patients jeunes est souvent tardif et insuffisant (Rapport REIN 2021).

- Au bout d'un an de dialyse, moins de 40% des patients de moins de 60 ans sont inscrits en Alsace, Auvergne, Limousin, Nord-Pas-de-Calais, Poitou-Charentes, PACA, Outre-mer.
- Ce taux est de plus de 60% en Aquitaine, Ile-de-France, Languedoc-Roussillon, Midi-Pyrénées, Rhône-Alpes.

²² <https://renaloo.com/greffe-renale-des-durees-dattente-tres-inegales-selon-les-hopitaux-mais-aussi-selon-lage-et-le-groupe-sanguin/>

En outre, la néphropathie à l'âge récidive après transplantation rénale chez 20 à 60 % des patients et augmente le risque de perte du greffon, bien que la survie globale reste comparable à celle d'autres étiologies en l'absence de récidive clinique active (*TANGO consortium, Transplantation, 2021 ; Mayo Clinic cohort, Kidney Int, 2023*).

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients²³ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

KDQOL-36 (Kidney Disease Quality of Life – 36 items)

- Version abrégée du KDQOL-SF.
- Combine le SF-12 (qualité de vie générale) et 24 items spécifiques à la maladie rénale.
- Utilisable pour : MRC, dialyse, greffe.

KDQOL-SF (Kidney Disease Quality of Life – Short Form, 80 items)

- Version complète du KDQOL, plus détaillée (fardeau de la maladie, symptômes, relations avec l'équipe soignante, satisfaction, etc.).
- Utilisable pour : dialyse, greffe, MRC avancée.

ESRD-SCL (End Stage Renal Disease Symptom Checklist)

- Spécifique aux symptômes physiques et psychologiques en dialyse.

Transplant Effects Questionnaire (TxEQ)

- Spécifique aux patients greffés (tous organes).
- Évalue : anxiété, culpabilité, adhésion au traitement, peur du rejet.
- Existe en version traduite et adaptée au rein.

ReTransQOL

- Questionnaire français développé spécifiquement pour les patients transplantés rénaux.
- 42 items – dimensions : bien-être physique, psychologique, social, environnement, traitement.

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)

²³ 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.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

La présence d'une personne atteinte d'IRC dans une famille a un impact négatif sur la santé mentale des aidants, dont 30 à 50 % signalent des symptômes d'anxiété ou de dépression ^{24 25 26 27}.

Néphropathie à l'âge adulte avant suppléance

- Impacts psychiques : anxiété liée à l'incertitude (évolution, poussées, protéinurie), charge mentale de la surveillance²⁸.
- Impacts organisationnels : coordination des examens et traitements, accompagnement médical, rôle accru dans l'éducation thérapeutique.
- Impacts professionnels : absences ponctuelles, flexibilité nécessaire, baisse de productivité (« présentéisme »)²⁹
- Vie sociale/familiale : renoncement à certaines activités, reconfiguration des rôles familiaux.
- Impacts financiers : frais de transport, temps consacré, pertes de revenus indirectes.

²⁴ Mahmoud, D. A. M., Saad, A., Abdelhamid, Y. H. & El Hawary, Y. Depression and psychosocial burden among caregivers of children with chronic kidney disease. *Middle East Curr. Psychiatry* **28**, 12 (2021).

²⁵ Pereira, B. S. et al. Beyond quality of life: a cross sectional study on the mental health of patients with chronic kidney disease undergoing dialysis and their caregivers. *Health Qual. Life Outcomes* **15**, 74 (2017).

²⁶ Shukri, M., Mustofai, M. A., Md Yasin, M. A. S. & Tuan Hadi, T. S. Burden, quality of life, anxiety, and depressive symptoms among caregivers of hemodialysis patients: the role of social support. *Int. J. Psychiatry Med.* **55**, 397–407 (2020).

²⁷ Adejumo, O. A., Iyawe, I. O., Akinbodewa, A. A., Abolarin, O. S. & Alli, E. O. Burden, psychological well-being and quality of life of caregivers of end stage renal disease patients. *Ghana Med. J.* **53**, 190–196, (2019).

²⁸ IgA Nephropathy Foundation. Support options for caregivers. igan.org, 2023.

²⁹ Knobbe TJ et al. Employment status and work functioning among kidney transplant recipients. *Clin J Am Soc Nephrol.* 2022;17(10):1390–1401.

Dialyse

- Temps et logistique : séances contraignantes (au moins 3x/semaine ou soins quotidiens), accompagnements, gardes d'enfants.
- Santé de l'aidant : fatigue, troubles du sommeil (dialyse nocturne, alarmes), douleurs physiques, stress chronique³⁰.
- Vie professionnelle : aménagements d'horaires, télétravail, temps partiel, voire arrêt d'activité³¹.
- Vie personnelle : isolement social, tensions conjugales, épuisement émotionnel³².
- Impacts financier : surcoûts (transports, stationnement, matériel) et perte de revenus³³.
- Spécifique domicile (DP/HD à domicile) : responsabilisation technique (asepsie, incidents), vigilance continue, anxiété d'erreur³⁴.

Transplantation

- Péri-opératoire : pic de stress lié à l'appel pour greffe, organisation familiale d'urgence.
- Post-opératoire : soutien logistique et psychologique (soins, suivi, médication).
- Long terme : soulagement global mais nouvelle vigilance (infection, rejet, observance), peur de la récurrence et des complications³⁵.
- Vie professionnelle : reprise du travail du patient → baisse de charge mais maintien d'une « veille ».
- Psycho-social : ambivalence (espoir vs crainte), parfois fatigue d'aidant persistante³⁶.

Synthèse

La néphropathie à l'âge induit un fardeau important pour les aidants, qui culmine en dialyse — où contraintes temporelles, techniques et financières s'ajoutent — puis s'allège après la greffe, tout en laissant persister une vigilance et parfois une fatigue d'aidant durable.

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.

³⁰ Shankar R et al. Assessing caregiver burden in advanced kidney disease. *Kidney Int Rep.* 2024;9(3):445–458.

³¹ Alshammari B et al. Factors associated with burden in caregivers of patients with end-stage kidney disease: a systematic review. *Healthcare (Basel).* 2021;9(9):1212.

³² Vovlianou S et al. Burden, depression and anxiety effects on family caregivers of dialysis and transplant patients. *Int Urol Nephrol.* 2023;55(4):951-962.

³³ Rasmussen SEVP et al. Kidney dyads: caregiver burden and relationship strain among dialysis and transplant couples. *Transplant Direct.* 2020;6(7):e567.

³⁴ Yıldız I et al. Comparison of care burden of hemodialysis and kidney transplant caregivers. *J Parathyroid Dis.* 2022;10:e151.

³⁵ Pascual M et al. Retour au travail et charge des aidants après transplantation rénale. *Rev Med Suisse.* 2014;10(431):873-878.

³⁶ Borsheim B et al. Assessing burden among caregivers of paediatric dialysis and kidney transplant patients. *Pediatr Nephrol.* 2025;40(2):277–289.

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.

À ce jour, les patients atteints de néphropathie à IgA peuvent bénéficier de mesures de néphroprotection communes à toutes les MRC pour remédier à la perte continue de néphrons et retarder l'insuffisance rénale pour les personnes porteuses d'une MRC à partir du stade 3.

Cette prise en charge comporte, selon le degré d'évolution de la maladie :

Hygiène de vie

- Régime : apports en sel, en potassium et en protéines
- Arrêt du tabac
- Normalisation du poids corporel

Traitements médicamenteux

- Éviction de certains médicaments néphrotoxiques
- Médicaments anti-hypertenseurs : IEC et les ARA II ; éventuellement un médicament antihypertenseur d'une autre classe (diurétiques*, bêtabloquants, les inhibiteurs calciques)
- Inhibiteur du cotransporteur sodium-glucose de type-2 (SGLT2)
- Éventuellement d'autres médicaments : supplément de fer ; érythropoïétine en cas d'anémie ; vitamine D et suppléments de calcium ; sels de calcium ou de médicaments retenant le phosphore dans le tube digestif ; résine échangeuse de potassium ; traitement visant à baisser le taux d'acide urique
- Éventuellement des corticoïdes, ou un immunosuppresseur.

Plusieurs nouveaux traitements sont approuvés aux USA et dans d'autres pays, mais aucun n'est à ce jour disponible en France :

- Budesonide en forme à libération ciblée, qui fait l'objet de cette contribution
- Sparsentan (Filspari)
- Iptacopan (Fabhalta), inhibiteur du facteur B du complément alternatif)
- Atrasentan (Vanrafia), antagoniste du récepteur endothelin A.

En outre, budesonide et sparsentan ont une AMM européenne.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Si le diagnostic est posé suffisamment tôt, la néphroprotection peut ralentir l'évolution de la maladie, ainsi que la corticothérapie (étude TESTING) dans les formes les plus sévères.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Certains de ces traitements, notamment les corticoïdes, présentent des effets indésirables importants, qui ont un impact sur la qualité de vie et sur l'adhésion thérapeutique.

La néphroprotection ne cible pas spécifiquement les mécanismes de la néphropathie à IgA et ne s'attaque pas aux facteurs immunitaires et inflammatoires de la perte continue de néphrons pour réduire l'IgA pathogène.

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

L'accès à des traitements spécifiques, susceptibles de ralentir ou de stopper l'évolution de la maladie de manière plus efficace que l'existant, avec un profil de sécurité adapté et des effets indésirables limités, est un besoin majeur des patients.

De nouvelles recommandations KDIGO³⁷ ont été publiée en septembre 2025 spécifiquement sur la néphropathie à IgA, qui proposent de nouvelles approches, notamment des cibles de protéinurie plus ambitieuses (< 0,5 g/j, idéalement < 0,3 g/j), un diagnostic plus précoce, des biopsies plus largement recommandées, une prise en charge plus personnalisée, s'appuyant en particulier sur de nouveaux traitements, incluant le budésonide à libération ciblée, le sparsentan, les inhibiteurs de SGLT2.

Ces nouveaux standards internationaux confirment l'urgence que les patients français aient, eux aussi, un accès rapide aux innovations thérapeutiques.

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 :

³⁷ KDIGO 2025 Clinical Practice Guideline for the Management of Immunoglobulin A Nephropathy (IgAN) and Immunoglobulin A Vasculitis (IgAV) Rovin, Brad H. et al. Kidney International, Volume 108, Issue 4, S1 - S71

- 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.

Les extensions d'indication les plus probables à court et moyen terme pourraient concerner l'abaissement du seuil de protéinurie ($\geq 0,5$ g/j), la répétition ou la prolongation des cures, l'inclusion de populations plus jeunes, l'intégration dans des schémas combinés avec d'autres médicaments, les récurrences post-greffe.

Ces évolutions dépendront des **résultats de suivi à long terme (NEFIGARD extension, 2025–2026)**



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 secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Renaloo n'a pas recueilli directement d'expérience patient sur le budesonide dans le cadre de ses activités, mais des témoignages spontanés (2024-2025) partagés sur des forums et réseaux sociaux de pays où ce médicament est disponible.

Ils soulignent fréquemment l'efficacité constatée et la réduction des effets indésirables, notamment en comparaison avec ceux des stéroïdes classiques. Voici les améliorations les plus fréquemment mentionnées :

Réduction des effets indésirables

Contrairement aux corticoïdes systémiques (comme la prednisone), associés à des effets secondaires lourds (prise de poids, diabète, ostéoporose, troubles de l'humeur), le budesonide à libération ciblée semble mieux toléré :

- *« I've been taking since I was transplanted almost 3 years (preventative for reoccurrence), no real side effects that I've noticed... totally different to prednisone, which is full of side effects »*
- *« Been taking it since transplant (instead of prednisone), was a choice the consultant gave me, not actually licensed post transplant so need to pick up from hospital, but 2 1/2 years point transplant and no issues whatsoever ».*

Exception : Certains patients rapportent une fatigue passagère en début de traitement :

- *« I've been on budesonide for 4 months already. Been feeling very tired and sleepy for the first two months (not sure if that's drug related tho). »*

Stabilisation ou amélioration de la fonction rénale

Plusieurs témoignages évoquent une réduction de la protéinurie (marqueur clé de l'activité de la maladie) et une stabilisation, voire une amélioration, du DFG (débit de filtration glomérulaire) :

- *« Coming to the end of my 9 month course on it, no side effects, my kidney functions been stable throughout and protein loss in urine has decreased by over half »*
- *« I did not see any good results until the 6th month. Then my protein and eGFR were so much better. I went from 1600 protein down to 800 »*
- *« I've been on budesonide for 4 months already. (...). Now I have to say that I feel way better and GFR is slowly climbing up. Initially it has dropped from 45 to 36 within 3 months, and since on budesonide now I'm 40, although I'm sure the change of diet and some exercises helped as well »*

Meilleure qualité de vie et préférence par rapport aux stéroïdes classiques

« I have just come off of it, didn't realise how much good it done until I came off of it. Definitely worth pushing for it »

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 ?

Comme indiqué précédemment, certains patients rapportent une fatigue passagère en début de traitement.

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 ?

Le ralentissement de la progression de la néphropathie à IgA, et peut-être à l'avenir, en association avec d'autres médicaments, sa guérison.

Ce médicament pourrait contribuer à améliorer la quantité de vie des patients (espérance de vie, retarder ou éviter le recours à la dialyse, limiter le handicap) et leur qualité de vie (réduction des symptômes, de certains effets indésirables, de la limitation de la capacité de travail, du fardeau des traitements, etc.). Cet espoir est soutenu par les études (NEFIGAN et NEFIgARD) qui ont mis en évidence une stabilisation du DFG en plus de la baisse de protéinurie.

Outre l'intérêt en termes d'amélioration de la santé et de la vie des patients, ce traitement pourrait générer également des économies directes et indirectes, en particulier en retardant voire en évitant des coûts de la dialyse, de la greffe, et des complications de l'insuffisance rénale, mais aussi grâce aux gains de productivité.

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 ?

Une efficacité partielle et inconstante.

La persistance, même de façon atténuée, des effets indésirables des stéroïdes.

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Quelles sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?



Cette question porte sur le caractère innovant de l'usage du produit pour lequel la demande d'autorisation d'accès précoce est demandée.

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment³⁸ sur deux points :

- l'apport d'un changement substantiel en matière d'efficacité y compris sur la qualité de vie, de tolérance, de praticité ou de commodité d'emploi ou de parcours de soins ;*
- la couverture d'un besoin médical non ou insuffisamment couvert (ex. : usage adapté pour les enfants).*

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé



Il est essentiel pendant l'accès précoce d'observer avec attention l'utilisation et les effets du médicament pour mieux le connaître et évaluer son efficacité et ses effets indésirables en « vie réelle ».

Les données relatives à l'utilisation et aux effets du médicament sont collectées auprès des patients de deux façons :

- par le médecin durant les consultations : le médecin prescripteur de ce médicament posera des questions aux patients sur l'état dans lequel ils se sentent avec le traitement ;*
- par les patients eux-mêmes entre les consultations : les patients (et/ou leurs proches dans certains cas) recevront un ou plusieurs questionnaires en ligne ou sous format papier afin de recueillir eux-mêmes des données de santé et plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.*

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

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

³⁸ 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 ?

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. ?)

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 fin³⁹.



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.

³⁹ Également appelées « variables d'intérêt »

La transmission du document se fait en général sous 72h.

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

☐ Oui

☐ Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



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

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

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

Nom – Prénom :

Adresse mail :

Téléphone :

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que ...
- Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

La néphropathie à IgA est une maladie grave par sa fréquence, son évolution vers l'insuffisance rénale et l'impact majeur qu'elle exerce sur la qualité et l'espérance de vie, en particulier chez des patients jeunes dont elle bouleverse profondément l'existence.

Elle provoque fatigue, douleurs, troubles du sommeil, anxiété, dysfonctions sexuelles et difficultés de concentration. La qualité de vie est profondément altérée : scores SF-36 autour de 36/100 (contre 80-90 en population générale), l'espérance de vie est réduite de façon importante (-40 ans pour un patient dialysé de 18 ans).

La dialyse entraîne une perte d'autonomie, une dépendance à la machine, une désinsertion professionnelle et sociale ; 66 % des patients dialysés en âge de travailler vivent sous le seuil de pauvreté, moins de 20 % travaillent.

La greffe améliore nettement la qualité de vie, l'autonomie et l'emploi, surtout si elle est préemptive, mais impose une immunosuppression à vie et reste source d'inquiétude (rejet, complications).

Pour les aidants, la charge est lourde : stress et anxiété chroniques, fatigue, désorganisation familiale, difficultés professionnelles et financières. La dialyse est la période la plus éprouvante, la greffe un soulagement partiel mais non total.

Les traitements actuels de la néphropathie à IgA (hygiène de vie, néphroprotection, IEC/ARA II, SGLT2i, corticothérapie) peuvent ralentir modérément la progression de la maladie mais leur efficacité reste limitée, contribuant à un sentiment d'impasse thérapeutique.

De plus, les effets indésirables des corticoïdes (prise de poids, insomnie, troubles métaboliques, etc.) sont importants et contribuent à une faible observance.

Dans ce contexte, l'accès à des innovations ciblant spécifiquement la maladie, comme le budésotide à libération ciblée, représente une avancée.

Ce traitement a montré sa capacité à réduire la protéinurie et à ralentir la dégradation de la fonction rénale, tout en présentant un profil de tolérance plus favorable que les corticoïdes systémiques classiques.

Les focus groups menés par Renaloo auprès des patients en France ont mis en évidence l'impact profond et durable de la néphropathie à IgA sur la qualité de vie des personnes concernées, un sentiment d'abandon face à une impasse thérapeutique, ainsi que de fortes attentes quant à l'accès aux innovations.

Renaloo n'a pas recueilli directement d'expériences françaises sur le budésonide, mais les témoignages étrangers décrivent une baisse de la protéinurie, une stabilisation du DFG et une fatigue modérée en début de traitement. Les patients apprécient la meilleure tolérance par rapport aux corticoïdes classiques et l'efficacité visible sur les résultats biologiques.

Leurs attentes principales : ralentir la progression de la maladie, éviter ou retarder la dialyse et la greffe, conserver leur autonomie et leur emploi, accéder rapidement aux innovations. Leurs craintes : efficacité inconstante, persistance d'effets secondaires stéroïdiens, inégalités d'accès selon les pays ou selon le lieu de prise en charge.

5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques



Si vous souhaitez compléter les informations que vous jugez utiles pour la Commission de la transparence, merci d'utiliser cette partie de façon libre.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire



Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, appels téléphoniques, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

Renaloo a souhaité disposer de données qualitatives fines sur les patients atteints de la maladie de Berger. Pour cela, l'association a organisé en juin 2025 un premier focus group consacré à l'impact de la maladie et de ses traitements sur la vie des patients et de leurs proches. Ce focus group s'est tenu sous l'égide du Pr Christian Baudelot, professeur émérite de sociologie à l'École Normale Supérieure et vice-président de Renaloo, ainsi que de la Dr Daniela Rojas Castro, experte en psychologie sociale et recherche participative.

Il a réuni 9 participants (6 hommes, 3 femmes) atteints de néphropathie à IgA (maladie de Berger). Cette approche qualitative a permis de recueillir des témoignages sur le vécu de la maladie, les besoins non couverts et les priorités thérapeutiques. Les échanges ont également exploré, au-delà des aspects médicaux, les dimensions sociales, relationnelles et identitaires de la maladie.

Les discussions ont été transcrites et analysées afin d'extraire les thèmes récurrents, les verbatims marquants et les propositions concrètes. Les résultats ont ensuite été synthétisés pour répondre aux sections du questionnaire de la HAS.

Les résultats de l'enquête QUAVI-REIN (2011) ont par ailleurs servi de base à cette contribution, ainsi qu'une revue large de la littérature.

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

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

Yvanie Caillé

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 ?

16h de travail environ ont été nécessaires à cette contribution, en plus du temps consacré au focus group.

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

Non

Remerciements

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

Conception du questionnaire

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

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

