

FICHE

Accès précoce aux médicaments

Questionnaire de recueil du point de vue des associations de patients et d'usagers du système de santé

8 juillet 2021

- Ce questionnaire est réservé aux associations et aux groupes d'usagers du système de santé. Les associations peuvent être agréées ou non.
- L'objectif de ce questionnaire est de recueillir le point de vue de ces associations et groupes concernant une demande d'autorisation d'accès précoce déposée par un laboratoire pour un médicament dans une indication spécifique. L'information du dépôt de cette dernière figure dans le tableau de la page « [Contribuer à l'évaluation d'un médicament](#) » sur le site de la HAS, ainsi que le motif du dépôt, l'indication précise et la date limite pour répondre.
- Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou appeler le service Engagement des usagers au 01 55 93 70 00.
- Ce questionnaire une fois rempli doit être adressé à la HAS : accesprecoce.medicament@has-sante.fr. Il est transmis aux membres de la Commission de la Transparence dans son intégralité et sera rendu public sur le site de la HAS (la partie « Informations complémentaires et liens d'intérêts » est publiée selon votre autorisation).
- Ce questionnaire est en cours d'expérimentation – Il pourra faire l'objet de modifications après une phase test de 10 dossiers.

1. Identité de l'association ou du groupe d'usagers du système de santé

Nom complet suivi du sigle*¹ : Association Française contre l'Amylose

Adresse du siège* : 66 rue saint Jacques 13006 Paris

Nature de la structure* : Association de patients : agréée comme association représentant les usagers dans les instances hospitalières ou de santé publique par arrêté du 27 septembre 2021 publié au JO du 5 octobre

Nombre d'adhérents de l'association ou de participants au groupe :

- 450 adhérents dont plus de 80% malades ou familles
- 1703 abonnés FaceBook

¹ Les critères suivis d'un astérisque sont à remplir obligatoirement.

Audition souhaitée:

Oui Non ;

Raison : _____

2. Médicament et indication en vue de l'accès précoce

Nom commercial* : _____

Dénomination commune internationale (DCI)* : LAGEVRIO (molnupiravir)

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement des formes légères à modérées de la maladie à coronavirus 2019 (COVID-19) chez les adultes ayant un test de diagnostic positif au SARS-COV-2 et qui présentent au moins un facteur de risque de développer une forme sévère de la maladie.

→ **Avez-vous un commentaire général à apporter sur la population ou l'indication demandée pour cet accès précoce ? Vous semble-t-elle pertinente ?**

Les patients d'amylose vivent un parcours très difficile face à une maladie rare, grave, très invalidante.

Ils sont à haut risque en cas de contamination par la Covid 19 d'autant qu'un grand nombre d'entre eux ne sont pas répondeurs à la vaccination (traitements ou transplantation)

Un accès précoce à un traitement de la Covid 19 est absolument nécessaire pour stopper dès maintenant ce risque vital majeur.

Et cela d'autant plus que le caractère multi-systémique de l'amylose impose une prise en charge multidisciplinaire qui conduit à des consultations et examens incessants dans des services hospitaliers.

Ainsi malgré une attitude prudente et responsable, ces patients d'amylose se trouvent - dans le cadre de la prise en charge de leur amylose - exposés à un risque de contamination très élevé.

3. Impact de la maladie sur la personne concernée et ses proches

Il n'est pas utile de rappeler ce qu'est la maladie.

Décrivez ci-dessous les conséquences essentielles de la maladie sur la qualité de vie des personnes concernées ou de leurs proches et les traitements actuels lorsqu'ils existent.

Vous pouvez répondre partiellement aux rubriques concernées.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?**

- Argument 1 : Risque vital pour les patients amyloses qui sont très fragiles et pour beaucoup non répondeurs à la vaccination

- Argument 2 : Risque et crainte accrue des patients/ aidants au cours des consultations/hospitalisations pouvant entraîner un retard de prise en charge

- Argument 3 : Impossibilité pour les aidants et famille de poursuivre une vie normale du fait des précautions à prendre pour éviter de contaminer le patient

→ Quel est l'impact de cette maladie sur la qualité de vie des patients ou de leurs proches ?

Le risque de covid a entraîné des retards de prise en charge et enfermé les patients et les aidants dans un confinement strict qui dure – au-delà des confinements nationaux - depuis plus de 2 ans.

– Fatigue intellectuelle ou physique :

Le manque de lien social et une évolution de la maladie due à une prise en charge moins continue a généré chez un certain nombre de patients de la déprime, de la fatigue et du découragement. Le risque Covid a globalement un effet délétère sur l'état physique et intellectuel de ces patients très exposés et très fragiles

– Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur

– Activités de la vie quotidienne :

En raison des non-réponses à la vaccination, la crainte de la contamination a conduit à réduire drastiquement les activités du quotidien pour une période bien plus longue que les confinements imposés et sous une forme allant bien au-delà des limitations de la population générale

– Mobilité/déplacement :

Le manque d'exercice et souvent également la suspension de prise en charge par des kinésithérapeutes due aux craintes de contamination ont généré une perte de mobilité très importante pour beaucoup de patients

– Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :

La crainte de la contamination a généré des situations de télétravail exclusif sur une très longue période allant au-delà des confinements imposés et des arrêts de travail pour les patients pour lesquels le télétravail n'est pas possible.

– Vie affective :

Beaucoup de limitations avec la famille et les proches et notamment les petits enfants et tous les jeunes. Beaucoup de regrets et de frustration de ne pas pouvoir voir ses proches.

– Vie sexuelle :

Le risque de contamination rend la vie sexuelle très complexe en particulier pour tous les patients n'ayant pas un relation stable

– Vie sociale :

La situation de confinement strict et de longue durée que les patients sont amenés à subir volontairement les isole depuis de longs mois et affecte les relations sociales de toutes natures.

– **Autres aspects :**

Des retards dans la prise en charge en particulier pour les nouveaux patients, liés au manque de disponibilité des soignants réquisitionnés par les unités covid, à générer des pertes de chances pour les patients Amyloses

4. Les traitements actuellement disponibles

L'autorisation pour la demande d'accès précoce prendra en compte l'existence ou non de traitements dûment autorisés et dont les objectifs et effets sont équivalents au médicament proposé en accès précoce (disponibilité ou non d'un traitement approprié).

→ **Quels sont les traitements actuels (curatifs ou palliatifs) utilisés par les personnes concernées dans l'indication mentionnée pour ce dossier ?**

Par exemple, autres médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Il convient de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le traitement pour lequel un accès précoce est demandé (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...).

Votre réponse :

Pas d'avis sur cette question

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

- Argument 1 : _____
- Argument 2 : _____
- Argument 3 : _____

5. Le médicament étudié en vue d'un remboursement dérogatoire dans le cadre d'une autorisation en accès précoce

Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement (par exemple, au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur), remplir la rubrique « 5.1. L'expérience avec le médicament étudié » et expliquer la méthode avec laquelle vous avez recueilli cette expérience dans la rubrique « 8. Méthodes. »

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, remplir la rubrique « 5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié ».

La Haute Autorité de santé évaluera le caractère innovant, notamment au regard des changements substantiels que cette nouvelle modalité de prise en charge apporte aux patients. Il est important d'identifier ce qui peut constituer du point de vue des personnes un changement substantiel au regard de l'impact de la maladie sur la qualité de vie.

Les catégories suivantes sont proposées à titre indicatif. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients majeurs qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé du patient, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave*
- *la qualité de vie du patient (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.*

5.1 L'expérience avec le médicament étudié

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

Ne remplir cette partie que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles sont les 3 améliorations majeures qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

- Amélioration majeure 1 :

A notre connaissance pas de traitement existant.

- Amélioration majeure 2 :

- Amélioration majeure 3:

-
- Autres améliorations :
-

Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Ne remplir que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quels sont les 3 principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié identifiés par les patients, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?**

- Inconvénient principal 1 :
-

- Inconvénient principal 2 :
-

- Inconvénient principal 3 :
-

- Autres inconvénients :
-

5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié

Vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients ayant utilisé le médicament étudié, mais souhaitez donner votre point de vue sur ce médicament.

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles seraient les 3 améliorations majeures qui vous permettraient de dire que le médicament étudié vous semblerait **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

- Attente majeure 1 :

Permettre aux patients amyloses, de pouvoir retrouver une égalité de chance/risque par rapport à la population générale

- Attente majeure 2 :

Permettre à leur famille/aidant de pouvoir reprendre une vie normale sans craindre de mettre en danger la vie de leur proche malade

- Attente majeure 3:

Permettre aux patients et aux soignants d'envisager des hospitalisations sans craindre de prendre un risque accru et de reprendre la continuité de leur prise en charge

- Autres attentes :
-

5.2.2. Vos craintes concernant le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles sont les principales craintes que soulignent les patients concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?**

- **Crainte principale 1 :**
-

- **Crainte principale 2 :**
-

- **Crainte principale 3 :**
-

- **Autres craintes :**
-

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

*La HAS peut décider de transmettre le projet de Protocole d'utilisation thérapeutique (**sous engagement de confidentialité**) – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations **ou groupes d'utilisateurs du système de santé**. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le*

médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

→ **Quels sont les 3 types d'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 ?**

- **Type d'information 1 :** Effets indésirables
- **Type d'information 2 :** _____
- **Type d'information 3 :** _____

→ **Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs²) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?**

- Non
- Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?

Les PROMs ne paraissent pas adaptés, en revanche le questionnaire VQ11 utilisé dans la BPCO pourrait être utile

→ **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, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)**

Recueil avec l'aide d'un soignant, le recueil au domicile peut également permettre une collecte simple et précise, sans pour autant ajouter une charge sur le patient ou son aidant

→ **Avez-vous un avis sur les mesures de gestion des risques qui vous semblent nécessaires et acceptables à prendre pour les patients qui recevront ce médicament ?**

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

La HAS peut décider de transmettre le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'usagers. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de bien vouloir renseigner la rubrique suivante.

→ **Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**

² Les PROMs : *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.

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

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

→ Selon quelle méthode avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles (§4) ?

- Nous avons utilisé :
- - les données collectées à travers tous les appels et échanges avec les patients depuis le début de la pandémie
- - les avis recueillis sur la messagerie de notre page FaceBook (1703 abonnés à ce jour)
- - les témoignages recueillis auprès de nos partenaires dans l'Amyloidosis Alliance – alliance internationale créée en juin 2018 sous présidence française – soit 20 associations de patients de 20 pays différents et 4 continents
- - les témoignages personnels d' administrateurs de l'association touché par l'amylose et transplantés, ainsi que d'aidants .
- - les propos des médecins (centre de référence et centres de compétence) lors de notre journée annuelle, de nos réunions, congrès et contacts
- - les témoignages collectés par l'association internationale (Amyloidosis Alliance : alliance d'associations de patients) à l'occasion de la première journée mondiale de l'amylose (26 octobre 2021)

→ Selon quelle méthode avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement (§5.1) ? Le recueil a-t-il été réalisé par l'association, par le laboratoire ou par les deux ?

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

- Oui
- Non

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

Le directeur, la présidente et les administrateurs et bénévoles patients et aidant.

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

Non

9. Synthèse

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

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

Votre réponse :

L'amylose est grave, invalidante, hétérogène, multi-systémique, mortelle sans traitement.

Les patients sont nombreux et plus fragiles, beaucoup ne sont pas couverts par le schéma vaccinal du fait de leurs traitements. Ils sont à risque extrêmement sévère de forme grave de Covid 19. Ils adoptent une attitude responsable en s'isolant pour éviter les risques de contamination. Cela les isole et impacte très lourdement leur prise en charge donc leur état physique et psychologique.

L'existence et l'accès à un traitement de la Covid 19 éliminera la menace du risque aggravé dont ces patients sont victimes et leur permettra ainsi qu'à leurs familles de retrouver une prise en charge de leur maladie rare et sévère et de sortir de l'isolement .

L'accès à un traitement prévenant les formes graves de la Covid 19 est attendu comme une urgence et avec un immense espoir.

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts

→ Souhaitez-vous que cette rubrique soit rendue publique ?

- Oui
- Non

10.1 Complément d'information sur votre association ou groupe d'usagers³

→ **Personne contact pour les contributions :**

- Nom prénom : Farrugia Agnes
- Fonction : Directeur
- Adresse électronique : agnes.farrugia@amylose.asso.fr
- Téléphone : 06 42 88 13 77

→ **Principales activités de votre association ou groupe d'usagers :**

³ Les données personnelles collectées dans le cadre de ce questionnaire (nom, prénom, adresse e-mail, n° de téléphone professionnel, fonction) servent uniquement à la gestion de votre contribution et ne sont transmises qu'à la HAS.

Elles seront conservées pendant 10 ans.

Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par courriel à l'adresse suivante : dpo@has-sante.fr.

Principales activités :

- Informer, écouter, s'entraider
- Faire connaître et reconnaître la maladie
- Stimuler la recherche
- Se fédérer en France et à l'international

Concrètement cela se traduit par :

- . Ecoute et mise en place d'un réseau de malades en contact
- . Information : plus de 150 appels traités/an
- . Soutien psychologique (vacations psychologue)
- . Soutien social
- . Communication : site internet, page facebook, revue, réunions
- . Publications : vidéos, livrets didactiques ou pratiques
- . 3 Prix annuels : recherche, accompagnement, formation
- . Lien patients médecins : journée annuelle, conférences
- . Contribution aux programmes d'Education Thérapeutique du Patient (conception, animation) et conception en cours d'un programme spécifique toutes amyloses
- . Groupes de travail des CRMR : enquêtes, chartes...
- . Participation aux comités patients des filières de santé française (Filnemus) et européenne (ERNNMD European Network Neuro Muscular Diseases)
- . Groupes de travail Alliance Maladies Rares, Eurordis, Alliance Française des Associations de Patients atteints de Neuropathies Périphériques (AFANP)
- . Création et animation d'une Alliance Internationale d'associations de patients, 20 pays participants, statuts et présidence française

→ Composition des associations non agréées et nature des groupes d'utilisateurs

Décrivez la composition des instances (conseil d'administration et bureau) : noms des personnes, titres.

10.2 Informations sur le financement de votre structure et autres liens d'intérêts

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine d'un financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), pour l'année en cours et l'année passée.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

→ Budget total de l'association pour l'année passée : 716Keuros

→ Budget total de l'association pour l'année en cours : 529 Keuros

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
-------	--------------	-----------------	--

2020	dons	36 Keuros	5%
	partenariats	165 Keuros	23%
	prestations	97 Keuros	13%
	fonds propres	418Keuros	58%

→ Pensez-vous nécessaire de porter à la connaissance de la HAS d'autres liens qui pourraient constituer un potentiel conflit d'intérêts ?

Remerciements

Nous vous remercions beaucoup pour votre apport et votre temps passé. Ils sont importants. Votre contribution, notamment la synthèse ci-dessus, sera notamment mentionnée oralement lors de la séance de la commission.