
QUESTIONNAIRE

Validé par la CEESP et la CT les 8 et [Date]

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	14
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	15
1.3. Le médicament évalué	17
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	18
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	18
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	18
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	19
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	19
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	19
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	26
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	27

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

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



Il est obligatoire de remplir la rubrique suivante pour que votre questionnaire soit pris en compte. CE VOLET DU QUESTIONNAIRE NE SERA PAS PUBLIE

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association Française de Narcolepsie Cataplexie et hypersomnies rares (ANC)

Site internet : www.anc-narcolepsie.com

Adresse postale (le cas échéant) :

Siège Social : CHU Gui de Chauliac. Service de l'Exploration Fonctionnelle des Maladies du Sommeil.
34295 Montpellier cedex 5.

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

WAKIX

Dénomination commune internationale (DCI) :

WAKIX

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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 – Extension d'indication

☐ 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 ?

La narcolepsie est caractérisée par une somnolence diurne excessive (SDE) et des endormissements incontrôlables dans la journée, fréquemment associés à la perte brusque du tonus musculaire (cataplexie), déclenchée par des émotions souvent positives.

1. Les situations de handicap générées par la narcolepsie

➤ Troubles du sommeil et de l'éveil

Les accès de sommeil dans la journée et les endormissements incontrôlables perturbent toutes les activités de la vie quotidienne : les personnes s'endorment souvent, directement dans le sommeil paradoxal pendant 10 min à 1 h, parfois plus de vingt fois par jour. La vigilance redevient inconstamment normale après les endormissements.

La mauvaise qualité du sommeil nocturne (réveils fréquents, cauchemars, somnambulismes) peut majorer les difficultés globales.

Ces troubles ont un impact psychologique important avec une répercussion sur la vigilance le jour, la cognition, l'estime de soi et les relations avec les autres.

➤ Troubles du tonus musculaire

Les attaques de cataplexie sont déclenchées généralement par des émotions : rire, surprise, et moins souvent tristesse, stress, colère, peur, etc. et sont à risques de blessures, d'accidents domestiques, de noyades et de chutes. Toutes les activités de la vie quotidienne deviennent potentiellement dangereuses notamment les déplacements aussi bien à l'intérieur qu'à l'extérieur du domicile.

➤ Hallucinations et paralysies

Les hallucinations liées au sommeil, qui sont de fausses perceptions (visuelle, auditive ou tactile), peuvent parfois être très angoissantes.

Les paralysies du sommeil empêchent de bouger ou de parler pendant quelques secondes à plusieurs minutes au moment du réveil ou de l'endormissement alors que la personne est éveillée. Ces paralysies sont parfois suivies de crampes, de douleurs, et peuvent être accompagnées d'hallucinations.

➤ Troubles de l'attention, de la concentration, de la mémoire, et des apprentissages

La somnolence récurrente et l'absence de vigilance normale entre les épisodes peuvent provoquer des conduites automatiques et des troubles de l'attention dans la journée : oublis, difficultés à suivre une conversation, difficultés à distinguer les hallucinations de la réalité, etc.

➤ Troubles de l'alimentation

Une prise de poids est présente chez un tiers des enfants et adolescents et un quart des adultes. Elle se produit en général la première année de la maladie.

➤ Dépression

Les symptômes dépressifs concernent jusqu'à 35 % des personnes atteintes de narcolepsie.

2. Les conséquences dans la vie quotidienne

La narcolepsie avec cataplexie est une maladie chronique dont l'évolution et la sévérité sont variables selon les personnes : de quelques endormissements dans la journée à des manifestations plus sévères (endormissements et cataplexies jusqu'à vingt fois par jour).

La survenue incontrôlable des attaques de sommeil et de cataplexie est particulièrement anxiogène pour la personne atteinte et son entourage proche : prendre soin de soi, se déplacer à l'intérieur et à l'extérieur, conduire, etc. deviennent des actes potentiellement à risques (accidents domestiques ou de la route). L'organisation de la vie quotidienne peut s'en trouver considérablement perturbée.

Le traitement ne permettant pas de supprimer complètement ces manifestations, les personnes atteintes peuvent en atténuer les effets en apprenant par exemple à gérer leur sommeil avec des horaires réguliers et suffisants ainsi qu'en programmant des siestes préventives dans la journée (courtes et fréquentes si possible).

Toutefois ces siestes programmées peuvent être mal acceptées par l'entourage et il faut insister sur l'importance de les respecter.

Les paralysies du sommeil sont particulièrement difficiles à vivre pour la personne qui a besoin d'une aide extérieure pour se sortir de cet état.

Concernant la conduite automobile, l'arrêté du 21 décembre 2005 (publié au Journal officiel le 28 décembre 2005 et renouvelé en juillet 2010 et en décembre 2015) précise que la somnolence quelle que soit la cause contre-indique la conduite automobile. Toute personne souffrant de somnolence doit être informée des risques liés à la conduite automobile et celle-ci doit lui être déconseillée en l'absence de prise en charge thérapeutique. Le décret institue un permis de conduire à durée limitée par tranche de 1 an minimum et 5 ans maximum, après évaluation de l'efficacité thérapeutique pour les personnes traitées. Les textes diffèrent selon qu'il s'agit de conduite domestique et occasionnelle ou professionnelle. Le médecin doit alors délivrer un certificat de « non contre-indication à la conduite automobile ». La déclaration de la maladie aux services de la préfecture est obligatoire et son omission peut invalider l'assurance. Seule la commission des permis de conduire peut prendre la décision définitive.

En général, les manifestations de la maladie s'améliorent avec l'âge, probablement du fait de l'adaptation des personnes (gestion des émotions, siestes préventives, etc.) et de l'effet de l'âge lui-même sur le sommeil.

➤ Conséquences dans la vie scolaire

La maladie perturbe la scolarité des élèves atteints et les principaux éléments à prendre en compte sont :

- la gestion des endormissements ;
- la survenue des épisodes de cataplexies ;
- les nombreuses absences dues à l'incapacité de se lever le matin ;
- les troubles de l'attention, de la concentration, de la mémoire, et des apprentissages ;
- les relations avec les camarades de classe.

La quasi-totalité des élèves suivent une scolarité en milieu ordinaire, néanmoins une prise en charge doit être proposée en fonction des besoins spécifiques de chaque élève avec des aménagements, des adaptations et des aides ciblées.

➤ Conséquences dans la vie professionnelle

La maladie perturbe l'activité professionnelle et les principaux éléments à prendre en compte sont :

- la sévérité de l'hypersomnie et de la cataplexie (risque d'accidents du travail) ;
- les difficultés de concentration, de mémorisation, la baisse de vigilance (baisse de performance) ;
- les professions nécessitant la conduite de véhicules motorisés : en cas de somnolence persistante, le risque d'accident est réel en l'absence de traitement efficace.

Des dispositifs spécifiques et des aides sont disponibles pour faciliter l'inclusion professionnelle et le maintien dans l'emploi en milieu ordinaire.

➤ Conséquences dans la vie sociale

La maladie est souvent incomprise, source de préjugés et de moqueries. Hyperactivité, retrait social, perte de confiance en soi et de l'estime de soi sont des répercussions possibles. Les relations sociales peuvent également être sources d'angoisse par crainte des pertes de mémoire ou des hallucinations. Il est donc essentiel pour l'entourage d'être sensibilisé à toutes ces difficultés et de s'adapter aux capacités de la personne atteinte.

Un travail de pédagogie est souvent nécessaire pour expliquer la réalité de la maladie et toutes les possibilités de vie sociale qu'elle permet.

➤ Conséquences sur l'activité physique

La pratique d'une activité physique (ou sportive) doit être encouragée pour l'équilibre qu'elle procure. Elle sera choisie selon les capacités de la personne.

(Document réalisé par Orphanet en collaboration avec l'ANC)

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

Échelle de Sévérité de la Narcolepsie pour l'adulte. *D'après Dauvilliers et al. Neurology. 2017*

Échelle de Sévérité de la Narcolepsie pour l'enfant d'âge scolaire et l'adolescent. *D'après Barateau et al., Neurology 2021*

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 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 ?

L'apparition de la narcolepsie chez un proche ou un enfant vient bousculer le quotidien, tant dans la répartition des tâches, que dans la disponibilité que cela demande (accompagnement dans la gestion de la maladie, des traitements, des divers rendez-vous médicaux, des divers réveils dans la journée). Pour les parents, cela a des conséquences sur leur travail et certains doivent réduire leur temps de travail (exemple d'un parent ne réussissant pas à arriver à l'heure le matin car il est extrêmement difficile

¹ 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.

de réveiller son enfant. Cette famille a dû payer une aidante familiale qui venait chaque matin pour s'occuper de leur enfant et réussir à le déposer à l'école à 10h du matin).

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.

Le traitement de la narcolepsie comprend des stimulants de la veille (modafinil en première intention pour la somnolence diurne, pitolisant, méthylphénidate ou amphétamine), et des anticataplectiques (antidépresseurs ou du sodium oxybate). Le sodium oxybate est efficace aussi bien sur la somnolence que sur les cataplexies et le mauvais sommeil de nuit. Le traitement médicamenteux doit être complété par une éducation thérapeutique et éventuellement du soutien psychologique. La maladie se stabilise souvent avec une fréquente amélioration de la somnolence et des cataplexies (cette dernière peut disparaître spontanément avec le temps et par le contrôle des émotions), toutefois la qualité du sommeil de nuit peut diminuer avec l'âge.

Thérapeutiques disponibles :

- **Modafinil** 100 mg, comprimé : Modiodal®, Modafinil Arrow®, Modafinil Biogaran®, Modafinil EG®, Modafinil Mylan®. Prise jusqu'à 600mg/jour. Agit sur les récepteurs de la dopamine. Accessible en pharmacie de ville. Prescription initiale réservée aux neurologues ou aux médecins des centres du sommeil puis renouvellement de l'ordonnance possible par le médecin traitant. Nécessité d'un suivi cardiaque. Prise possible matin et midi.

Vigilance à avoir concernant les troubles de l'humeur, la dépression, la perte d'appétit et les palpitations cardiaques.

Nécessité d'adopter une contraception non hormonale.

AMM chez l'adulte uniquement

- **RITALINE LP®** 10 mg, 20 mg, 30 mg ou 40 mg gélule à libération prolongée, RITALINE® 10 mg, comprimé sécable Chlorhydrate de méthylphénidate. Médicament STUPEFIANT Prescription limitée à 28 jours Prescription initiale hospitalière annuelle réservée aux spécialistes des centres du sommeil (neurologues, pédiatres et psychiatres hospitaliers). Médicament disponible en pharmacie de ville. Prise possible matin et midi.

Vigilance à avoir concernant la diminution de l'appétit, l'irritabilité, l'insomnie, les palpitations. Pas d'interaction avec la contraception.

Le **méthylphénidate** existe également sous l'appellation QASYM®, CONCERTA®, MEDIKINET® qui permettent des durées de vie de la molécule différentes mais dont les principes d'action, la méthode de délivrance et les points de vigilance sont les mêmes.

AMM chez l'enfant et l'adulte uniquement pour la RITALINE LI 10 mg

- **XYREM®** Oxybate de Sodium, 500mg/mL solution buvable au coucher. Médicament STUPEFIANT Prescription limitée à 28 jours Prescription initiale annuelle réservée aux neurologues ou aux médecins des centres du sommeil Renouvellement non restreint Médicament disponible en pharmacie hospitalière.

Xyrem consolide le sommeil nocturne. La dose habituelle initiale est de 4,5 g/jour au coucher en 2 prises. La dose sera adaptée individuellement jusqu'à une dose maximale de 9 g/ jour en 2 prises. Chaque dose doit être mise dans le godet doseur puis diluée avec 60 ml d'eau soit 4 cuillères à soupe (préparer les deux doses avant d'aller vous coucher et les placer sur la table de nuit). Ne pas mélanger avec du lait. Prendre la première dose assis dans son lit puis la deuxième 2h30 à 4h plus tard (vous aurez peut-être besoin d'un réveil). La dernière prise doit avoir lieu avant 3h du matin. La prise de XYREM® doit avoir lieu minimum 2h après un repas car la prise d'un repas pourrait diminuer la quantité de XYREM® absorbée par votre organisme.

A consommer dans les 40 jours quand le flacon est ouvert. Ne pas conduire.

Point de vigilance concernant les épisodes de confusion, d'énurésie, de somnambulisme, de troubles digestifs et renaux et d'hypertension artérielle.

AMM chez l'adulte et l'enfant

- **WAKIX®** Pitolisant, 4,5mg ou 18mg comprimé. Prescription initiale annuelle par des médecins spécialisés en neurologie ou exerçant dans les centres du sommeil.

Renouvellement de l'ordonnance possible par le médecin traitant. Médicament disponible en pharmacie de ville. Prise uniquement le matin.

Vigilance concernant la prise de poids, les céphalées, l'irritabilité, la dépression. Pas d'interaction avec la contraception.

AMM chez l'adulte uniquement

- **SUNOSI®** (Solriamfetol) 75 mg ou 150 mg comprimés. Ordonnance classique mensuelle, délivrance en pharmacie d'officine. Dose : 75 mg à 150 mg/ jour en 1 prise le matin. Prescription une fois dans l'année, initiée par un neurologue ou un médecin exerçant dans un centre du sommeil.

AMM chez l'adulte uniquement

- **ATTENTIN®** Dexamphétamine 5mg comprimé. Médicament STUPEFIANT Prescription hospitalière limitée à 28 jours ATU* Nominative. Médicament disponible en pharmacie hospitalière. Prise le matin et le midi.

Vigilance concernant la nervosité, l'humeur, l'appétit, les troubles du rythmes cardiaques, de la tension et les états de manque ou malaises.

Hors AMM

L'ensemble des thérapeutiques disponibles demande une surveillance d'un point de vue cardiaque, de l'humeur et de l'appétit principalement. Pour de nombreux patients, c'est la combinaison de plusieurs molécules qui leur permet de trouver un équilibre et de gérer leur narcolepsie.

Cependant, la prise de ces médicaments, nécessitent quand même pour bon nombre de patients, de maintenir une sieste en journée.

D'autres patients sont quant à eux en échecs 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 :

- *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.

L'indication chez l'enfant est primordiale car peu de traitement existe et face à la bonne tolérance chez l'adulte, cela est très encourageant pour les enfants.



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.

Délivrance en officine de ville

Prise du médicament simple

Pas d'effets secondaires notables

Une efficacité sur la somnolence et les cataplexies qui évitent de prendre deux médicaments différent

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 ?

Aucun

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 ?

Ce traitement permet d'agir sur la somnolence et les cataplexies, ce qui permet de prendre une seule et même molécule et pas deux comme cela doit être fait actuellement.

De plus, ce traitement est le seul médicament de la classe des antagonistes/agonistes inverses du récepteur H3 de l'histamine cérébrale utilisé dans la narcolepsie. Nous constatons moins d'effets secondaires qu'avec la classe des psychostimulants.

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 ?

Aucune crainte

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 notamment² 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.

² 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 fin³.



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

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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'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

Pour quelles raisons ?

Car cela ne semble pas nécessaire au vu des données rassurantes.

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.

Le diagnostic de la narcolepsie accuse un retard de 10 ans actuellement. Cette maladie très invalidante entraîne de la somnolence en journée, des accès de sommeil irrésistibles, et un mauvais sommeil de nuit. Ces symptômes très invalidants peuvent être complétés par des cataplexies (chute du tonus musculaire suite à une émotion, des hallucinations et des paralysies du sommeil).

Chez les enfants, les symptômes de la narcolepsie sont encore plus sévères que chez l'adulte, surtout à l'apparition de la maladie. Le quotidien familial, mais davantage scolaire se voit très impacté.

Le Wakix chez l'enfant répond à un véritable besoin thérapeutique car il permet d'agir sur la somnolence et les cataplexies en un seul traitement, plutôt qu'en combinant deux molécules comme c'est le cas actuellement. De plus, le Wakix agit sur les récepteurs de l'histamine et ce nouveau mode d'action entraîne bien moins d'effets secondaires qu'avec les psychostimulants actuels (maux de tête, coupe faim, nervosité, irritabilité).

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 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 ?

Contribution de l'ANC à la rédaction du PNDS narcolepsie en 2021, ainsi qu'à la fiche handicap de Orphanet concernant la narcolepsie, 2018.

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

Témoignages de nos adhérents et sympathisants lors des différentes rencontres (assemblée générale, groupe de parole) ou sur nos réseaux.

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

Les parents des enfants atteints de narcolepsie

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

Aucune

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

45 minutes. L'ANC avait déjà déposé une contribution pour un autre traitement et cela avait permis de se familiariser avec la demande.

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

Oui, fichier non modifiable. Un copié collé vers un fichier vierge a été nécessaire.

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'usagers 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

