
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

Sommaire

Appendix 1.Questionnaire – Partie A.....	9
Appendix 2.Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	20
Appendix 3.Questionnaire – Partie C : Demande d’audition	25
Appendix 4.Questionnaire – Partie D : Synthèse.....	26
Appendix 5.Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	27
Appendix 6.Questionnaire – Partie F : Méthodes	28

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis : en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.

au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

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

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

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

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



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

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

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

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

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

Note importante

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

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

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

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

DUPIXENT

Dénomination commune internationale (DCI) :

DUPILUMAB

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

Nouvelle indication dans le traitement de la dermatite atopique sévère de l'enfant âgé de 6 mois à 5 ans qui nécessite un traitement systémique

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

Questionnaire – Partie A

Impacts de la maladie sur la qualité de vie

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 dermatite atopique affecte les patients sur tous les aspects de leur vie et notamment à l'école. L'étude EclA Junior que l'Association Française de l'Eczéma a menée en 2020 auprès de 664 familles montre que les impacts de la maladie sur la vie des enfants et de leur famille sont nombreux.

La dermatite atopique est caractérisée par des crises inflammatoires se traduisant par l'apparition de plaques plus ou moins nombreuses et étendues, et pouvant se localiser sur l'ensemble du corps. Ces plaques démangent fortement et font souffrir les patients. Les démangeaisons parfois constantes affectent la qualité du sommeil, entraînant parfois des somnolences ou difficultés de concentration la journée. Selon EclA Junior, 33% des enfants atteints de dermatite atopique modérée, et jusqu'à 67% des cas les plus sévères, affirment avoir mal dormi à cause de leur eczéma au cours des sept derniers jours.

En plus d'être douloureuse et handicapante, la dermatite atopique est par définition « affichante »/visible, ce qui peut créer un véritable mal être chez le patient, entraînant une perte de confiance en soi, un repli sur lui-même. Ainsi, 21% des enfants avec une atteinte modérée interrogés par EclA Junior affirment avoir été « embêtés par les autres qui leur donnaient de drôles de noms, les taquinaient, cherchaient la bagarre, leur posaient des questions, ou les évitaient », au cours des sept derniers jours (ce chiffre monte à 51% des enfants en cas d'eczéma sévère). Et 49% des enfants atteints d'une dermatite atopique modérée déclarent avoir été « mal à l'aise, malheureux ou tristes » du fait de leur eczéma au cours des sept derniers jours. Chiffre qui atteint 69% pour les cas les plus sévères. Toute sévérité confondue (légère, modérée ou sévère), un tiers des enfants déclare avoir été « mal à l'aise, malheureux ou tristes » du fait de leur eczéma au cours des sept derniers jours.

Ce phénomène est accentué par la mauvaise connaissance de la maladie par le grand public qui est souvent à l'origine de remarques blessantes, à tout âge et même dans l'entourage proche.

Les conséquences sont donc multiples : physiques, avec les douleurs que les crises engendrent, et psychologiques, avec l'absentéisme scolaire, les problèmes de concentration à l'école, l'exclusion sociale, la stigmatisation, la difficulté de poursuivre des activités de loisir et de pratiquer un sport. Tout cela compromet la santé mentale des enfants souffrant de dermatite atopique et peut mener à l'isolement, la déprime, voire la dépression, et l'anxiété.

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 ?

Children's Dermatology Life Quality Index (CDLQI) pour les enfants de 4 à 16 ans, et le Family Dermatology Life Quality Index (FDLQI) qui peut être utilisé dans les familles quel que soit l'âge de l'enfant nous semblent des indicateurs intéressants. : Ils permettent d'évaluer si le traitement a un effet sur l'amélioration de la qualité de vie de l'enfant et de sa famille, qui est ce qui est recherché en priorité par les patients touchés par la dermatite atopique, qui n'impacte pas l'espérance de vie mais altère profondément la qualité de vie des patients et de leurs proches sur des périodes très longues, voire tout au long de la vie

¹Parfois 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.

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'étude Ecla Junior a également interrogé les parents, et montre que l'impact de la maladie de leur enfant sur leur quotidien est très fort, en particulier pour les atteintes les plus sévères. Les parents sont en première ligne... focalisent sur l'eczéma de leur enfant et culpabilisent (c'est le cas de 53% des parents dont l'enfant a une atteinte sévère).

Et cette préoccupation affecter la concentration au travail pour 39% des parents d'enfant avec une atteinte sévère.

La maladie a aussi des répercussions sur la vie de couple des parents, avec 24% des parents d'enfants atteints sévèrement indiquant des tensions au sein du couple à cause de la maladie de l'enfant.

La maladie de l'enfant impacte donc les parents, mais aussi la fratrie et toute la famille : 24% des parents dont l'enfant a un eczéma sévère considèrent qu'ils délaissent leurs autres enfants, tandis que 27% déclarent organiser l'ensemble de la vie de famille autour de l'eczéma de leur enfant.

Par ailleurs, traiter au quotidien l'eczéma et soulager les crises occasionnelles, coûte cher aux familles, notamment lorsque l'eczéma concerne, comme souvent, plusieurs membres de la fratrie. Or, tous les frais engendrés ne sont pas remboursés et restent à la charge des patients. Les consultations spécialisées (dermatologues, allergologues, pédiatres, psychologues...), les soins, l'usage nécessaire de fournitures adaptées (pansements), de crèmes émollientes, de produits d'hygiène domestique et corporelle spécifiques sont autant de coûts induits par eczéma qui représentent pour les patients « un reste à charge ». Selon EclA Junior, le reste à charge moyen par patient s'élève à 358 euros par an. Un montant qui augmente sensiblement avec la sévérité de la maladie et qui peut atteindre, pour les cas les plus sévères, jusqu'à 878 € en moyenne par patient.

L'étude Ecla Junior n'était pas ciblée sur les parents de bébés atteints de dermatite atopique, mais nous recevons régulièrement des témoignages, sur nos réseaux sociaux ou sur notre ligne d'écoute, de parents totalement désemparés face à l'eczéma de leur enfant, et perdus concernant la prise en charge, car confrontés à des discours parfois discordants des différents professionnels de santé consultés (pédiatre, dermatologue, médecin généraliste, pharmacien, sage-femme). Les parents qui font appel à nous sont épuisés, culpabilisent, et cherchent désespérément des solutions pour soulager leur bébé. Ils nous font part également d'un manque d'écoute et d'une banalisation de la maladie de la part de certains professionnels de santé.

Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)



Les informations demandées ici sont importantes pour la Commission de la transparence car elle évalue les nouveaux produits comparativement aux options thérapeutiques déjà disponibles. Les avis en vue du remboursement comportent notamment une gradation du progrès thérapeutique apporté par un nouveau médicament au regard des traitements actuellement disponibles ou de la prise en charge habituelle. C'est ce que l'on appelle « l'Amélioration du Service Médical Rendu » (ASMR). L'ASMR comporte cinq niveaux allant de « absente » (ASMR V) à « majeure » (ASMR I).



Merci de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le produit évalué (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.).

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement, etc...).

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Les traitements disponibles pour les enfants de 6 mois à 5 ans souffrants de dermatite atopique sévère sont peu nombreux. .

Il s'agit principalement des dermo-corticoïdes. Le tacrolimus topique peut également être prescrit pour les atteintes modérées à sévères, mais il n'est pas remboursé pour les enfants entre 2 et 16 ans.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les traitements topiques, quand ils peuvent être bien suivis, peuvent suffire à contrôler les crises en limitant les effets secondaires.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les traitements topiques sont peu pratiques, surtout pour des enfants. Ils doivent se badigeonner, voire bander lorsque la poussée est très sévère. Cette technique de bandage est souvent faite en milieu hospitalier. Il est nécessaire dans la mesure du possible de poursuivre ces traitements chez soi, mais c'est très contraignant : le lavage, le crémage prend généralement 1h30 le matin et le soir. Lorsque la totalité de la surface corporelle est atteinte, comme c'est le cas chez de nombreux patients, il devient extrêmement difficile de se traiter uniquement avec des crèmes. Par ailleurs, il faut parfois tester

plusieurs émoullients pour trouver celui qui correspond le mieux à sa peau. Cela prend du temps et de l'argent car les émoullients recommandés ne sont évidemment pas tous remboursés par la Sécurité Sociale (un seul l'est à ce jour). Et il faut de nombreux tubes pour se crémier 2 fois par jour tout le corps. Il est très difficile pour des enfants de se contraindre à ces traitements. Par ailleurs, l'application du tacrolimus, souvent sur le visage, peut être très douloureuse (picotements, brûlures et démangeaisons intenses) et n'est pas supportée par tous les patients. De plus, de nombreuses informations circulent autour des dermocorticoïdes, entraînant souvent une corticophobie chez les parents. Les éventuels impacts sur la croissance si les dermocorticoïdes sont utilisés sur des surfaces étendues, et pour de périodes longues chez les enfants sont la source principale d'inquiétude pour les parents, même s'ils sont réversibles à l'arrêt du traitement.

Enfin, ces traitements topiques ne sont en plus pas toujours assez efficaces pour contrôler les formes sévères d'eczéma.

Il se peut alors que les parents se découragent et que l'enfant ne bénéficie plus d'aucun traitement pour sa dermatite atopique, qui peut alors devenir incontrôlable.

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

Les traitements topiques sont souvent incapables de contrôler des crises sévères et étendues. Ils sont par ailleurs difficiles à observer, surtout pour des enfants. Mettre à disposition des patients un traitement systémique dès l'âge de 6 mois permettrait de sortir un grand nombre de patients de l'impasse thérapeutique. Il est donc primordial, pour pouvoir offrir aux bébés et jeunes enfants atteints de forme modérée à sévère de dermatite atopique une bonne qualité de vie et assurer leur développement, d'élargir l'arsenal thérapeutique et de leur donner accès à des traitements innovants.

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.

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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



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.

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

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.

Nous n'avons pas d'expérience avec le médicament étudié

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 ?

Nous n'avons pas d'expérience avec le médicament étudié

Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



Exemples d'attentes (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.

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

Nous attendons un traitement efficace et sûr pour les enfants, avec le moins de risque d'effet secondaire à court et long terme

Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

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

La plus grande crainte exprimée par les familles concernant les médicaments innovants est le risque d'effet secondaire à long terme.

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 :

le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.

l'absence de traitement approprié disponible.

le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.

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.

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)

²Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS

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.



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.

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)

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 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)

³Également appelées « variables d'intérêt »

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Questionnaire – Partie D : Synthèse



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

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...

Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...

Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que ...

Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

Les plus grandes difficultés pour les patients atteints de formes modérées à sévères de dermatite atopique sont les symptômes invalidants, comme les démangeaisons, qui impactent fortement le sommeil, et l'impact sévère sur la qualité de vie : stigmatisation, isolement, difficultés scolaires, difficultés de concentration, anxiété, stress, déprime voire dépression, comme le montre l'étude EclA Junior menée par l'Association Française de l'Eczéma. L'impact sur les familles est également très important : culpabilité des parents, impact sur le budget des familles.

Les thérapeutiques disponibles sont trop peu nombreuses. Les traitements topiques (dermocorticoïdes principalement) font peur à beaucoup de familles (corticophobie) et sont difficiles à appliquer, notamment si la dermatite atopique est très étendue. Ils ne suffisent par ailleurs pas à contrôler des dermatites atopiques modérées à sévères. Aucun traitement systémique n'est disponible pour cette tranche d'âge à notre connaissance.

Nous avons donc besoin que l'arsenal thérapeutique soit élargi, afin que des solutions innovantes soient proposées aux bébés et jeunes enfants atteints de dermatite atopique modérée à sévère, et qui ne sont pas soulagés par les traitements topiques actuels. C'est primordial pour que ces enfants ne sortent pas du système de soin à cause du découragement des parents, et pour qu'ils puissent profiter de leur enfance sans que leur vie ne soit gâchée par des symptômes douloureux, invalidants et stigmatisants.

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)

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 ?

L'Association Française de l'Eczéma a mobilisé ses adhérents et s'est nourrie de l'expérience acquise au cours des « permanences d'écoute » ; des échanges avec ses adhérents et non adhérents sur les réseaux sociaux ou lors des événements locaux et nationaux que l'Association organise, et des études auxquelles l'Association a directement ou indirectement participé.

Nous nous sommes également appuyés sur une étude réalisée avec le Dr Charles Taïeb, EclA Junior. EclA Junior est la première enquête européenne centrée sur l'eczéma atopique des juniors. Son objectif est d'évaluer l'impact de la maladie dans la vie quotidienne des juniors et des familles. Etude réalisée par questionnaires en ligne, menée auprès de 664 couples parent/enfant. Etude réalisée du 28 janvier au 30 mars 2020.

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

Non applicable

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

Le président (Florent TORCHET) ;

Directrice et Fondatrice (Stéphanie MERHAND) atteinte de Dermatite Atopique Sévère depuis l'âge de 18 Ans ;

Marjolaine Hering, patiente atteinte de dermatite atopique depuis l'âge de 18 mois et docteur en pharmacie

et TOUS les malades souffrant de dermatite atopique adhérents ou non de l'association et qui ont partagé avec l'association leur souffrance et souvent avec beaucoup de pudeur leur ressenti et leur vie quotidienne

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

Nous n'avons pas reçu d'aide extérieure pour soutenir notre contribution

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

Nous estimons avoir passé 5 à 6 h de travail pour rassembler les données et rédiger cette contribution

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

Globalement non, mais il est impossible de répondre à la question 1.3.1 (le champ de réponse est inaccessible)

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](#).

