

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

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	12
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	14
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	15
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	16
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	16
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	16
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	17
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	17
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	17
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	18
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	18
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	19
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	20
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	20
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	22
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	23
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	24
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	25

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 représentants 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 des parents d'enfants ayant des problèmes de croissance - GRANDIR

Site internet :

www.grandir.asso.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

24 rue Hector Gonsalphe Fontaine 92600 Asnières sur Seine

Nature de la structure :

- Association agréée au niveau national
- Association agréée au niveau régional
- Association non agréée
- Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Eurordis, Endo Ern et Alliance Maladies Rares - ICOSEP

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

GENOTONORM

Dénomination commune internationale (DCI) :

Somatropine

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

Réévaluation dans le retard de croissance chez les enfants nés petits pour l'âge gestationnel avec un poids et/ou une taille de naissance < -2 DS, n'ayant pas rattrapé leur retard de croissance à l'âge de 4 ans ou plus.

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

- En vue du remboursement de droit commun
- Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des 'groupes', par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc. :

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Impacts psychologiques*
- *Douleur*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

La petite taille due au retard de croissance intra-utérin doit se corriger dans les premiers mois de vie et ces enfants doivent avoir récupérer une taille normale à l'âge de 2 ans.

Quand ce n'est pas le cas, cette petite taille doit être explorée et peut être éligible à un traitement par hormone de croissance à partir de l'âge de 4 ans. Malheureusement, de nombreux médecins ne sont pas encore au fait de ces notions et ces enfants ne sont pas surveillés et même traités comme il le faudrait.

De nombreux parents se retrouvent donc confrontés à une errance diagnostique, avec retard au diagnostic entraînant une perte de chance pour les enfants. Quelques verbatims : « *Il a fallu 4 ans pour être entendue par les médecins, pour regarder la question de la croissance de ma fille, qui en souffrait déjà beaucoup* ». « *Personne ne m'a écoutée et le diagnostic de retard de croissance intra-utérin a été fait chez mon fils à l'âge de 11 ans avec beaucoup de retard* »

Les enfants qui ont une taille inférieure à la normale souffrent à l'école de moqueries, de harcèlement

« Ma fille a un retard de taille de 2 à 3 ans par rapport aux autres enfants et à sa croissance osseuse. Cela a un impact au quotidien, à l'école (moqueries des enfants), aux activités sportives (elle est systématiquement positionnée dans des groupes de taille et non d'âge). Cela a des répercussions psychologiques très importantes (dévalorisation, manque de confiance en soi, tristesse, évitement de groupe, etc.). Le fossé se creuse avec le démarrage de la puberté. »

Il existe un retentissement très important sur la vie affective (évalué à 5 par la plupart des parents), avec une fatigue intellectuelle et physique évaluée également à 5, un impact sur les activités sportives, ludiques et sur la vie scolaire.

« Notre garçon ne peut pas être autonome dans certaines situations en rapport avec sa taille et a besoin d'assistance » « La maladie a posé des difficultés dans l'acquisition durable de l'écriture, car la petite taille de la main, et une musculature mains/bras insuffisamment développée ont compliqué la tenue d'instrument d'écriture, sur des durées prolongées, avec en plus des difficultés liées à une fatigue physique et intellectuelle »

« Le principal aspect est l'impact psychologique, donc sur les plans affectif et social où notre fils ressent une différence grandissante qui se rapproche rapidement d'un handicap. Dès le CP, où sa croissance s'est stoppée, il a régulièrement été traité de nain par ses camarades d'école et au fur et à mesure des années, tous ses copains de classe l'ont dépassé de 30 à 40cm. Il est encore en école primaire, mais les conséquences (moqueries, mise à l'index...) auraient été pires au collège sans le traitement. Il a dû arrêter le judo, malgré son appétence pour ce sport et sa forte capacité à acquérir une technicité fine pour son âge. Mais il subissait trop la différence de gabarits. La pratique de l'athlétisme est aussi compliquée : en saut, course, il finit toujours dernier. Mais depuis le début de traitement, il reprend confiance petit à petit : chaque centimètre gagné est une victoire et une fête »

On note également un appétit restreint chez de nombreux enfants avec des difficultés au niveau de l'oralité.

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 ?

Il n'existe pas de questionnaire qualité de vie spécifique concernant le retentissement de la petite taille tant chez l'enfant que chez l'adulte ou sur le retentissement d'un déficit hypophysaire en hormone de croissance. On peut citer le PedsQL TM (Pediatric Quality of Life Inventory TM), utilisable dans les maladies chroniques de l'enfant, mais qui n'est pas spécifique aux enfants de petite taille.

1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants

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.



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 ?

Les difficultés et la souffrance de son enfant ont un impact négatif sur les parents. L'errance diagnostique également. Les examens médicaux, les consultations nécessitent un aménagement des horaires de travail. L'un des parents peut également arrêter de travailler pour accompagner son enfant en cas de retentissement important sur les capacités de l'enfant. L'annonce d'une maladie (parfois génétique), d'un traitement lourd peut faire éclater un couple. « *Les impacts psychologiques furent intenses avant la prise en charge de notre fils et son début de traitement. Sa maman a dû adapter le rythme de sa vie professionnelle pour intégrer l'ensemble des examens et suivis nécessaires* ».

« *impact psychologique (cotation 5) : voir son enfant craindre à ce point l'injection, c'est épuisant quand ça revient tous les jours !* ».

« *Au quotidien, cela a un impact important, ma fille fait la même taille que son petit frère qui a 2,5ans de moins qu'elle. Il faut faire face en permanence aux remarques désobligeantes de la part d'adultes ou d'enfants sur sa taille* ».

« *Vie sociale (impact 3), s'occuper de notre fille est très énergivore, chronophage, nous avons dû réduire notre temps de vie sociale, voire plus de vie sociale du tout.* »

La gestion du traitement (injectable) et qui doit être conservé au frais est une véritable difficulté, très mal vécue par certains parents « *mobilité / déplacement (impact 4) : il n'y a plus d'imprévu, tout doit se prévoir ou se programmer car les produits Genotonorm doivent être au frais et quand le traitement est 7 jours / 7, il n'y a plus de suspens ou de surprise non organisée ou gérée* ». « *Pour les vacances, il faut toujours anticiper les différentes étapes d'un voyage pour la conservation du médicament au frigo* ».

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)



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



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

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

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

Les traitements actuels pour agir sur la taille pendant la croissance font appel en tant que médicament à la Somatropine, commercialisée en France par plusieurs laboratoires. C'est le seul médicament actuellement capable d'agir au niveau des cartilages de conjugaison et d'augmenter la taille des enfants.

Certains parents et/ou enfants nécessitent une prise en charge sur le plan psychologique qui n'est pas systématiquement proposée, voire évoquée, alors que certains enfants ont en besoin, ainsi que des parents pour lesquels l'annonce de la maladie chronique de leur enfant est source de dépression. La fratrie peut également être impactée, sur le plan psychologique, cela n'est jamais pris en compte.

Pour les enfants nés petit pour l'âge gestationnel, des compléments alimentaires peuvent être prescrits en cas de troubles de l'oralité, avec éventuellement mise en place d'une nutrition entérale.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

La somatropine est une molécule analogue à l'hormone de croissance humaine. Chez l'enfant, elle a le même effet que l'hormone naturelle. Chez l'enfant elle permet d'obtenir une croissance en taille, dans la plupart des cas.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Ce sont des traitements injectables quotidiens, qui doivent être conservés au froid, la plupart du temps. Donc la fréquence d'injection et la conservation au froid sont 2 paramètres lourds à gérer au quotidien. Les effets secondaires sont rares, à type de céphalées. Il peut y avoir très rarement une élévation de la glycémie.

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

Certains enfants et/ou parents nécessiteraient une prise en charge psychologique, qui n'est pas assurée correctement actuellement – par ailleurs, tous les centres ne proposent pas d'ateliers de prise en main des dispositifs d'injection. Qui ne sont pas toujours simples à s'approprier.

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.

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.

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

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

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



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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

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

Le dispositif injectable est un stylo. En raison des pénuries constatées sur les hormone de croissance de certains laboratoires ces derniers mois, certains enfants ont bénéficié d'hormone de croissance venant de différents laboratoires et pu faire ainsi la différence entre plusieurs « stylos injecteurs ». Les avis sont partagés : certains sont déçus d'avoir dû passer d'une molécule se gardant à température ambiante à GENOTONORM qui doit se conserver au frais. Ils notent également que le dispositif injectable est plus long que d'autres stylos avec une prise en main plus difficile pour les petites mains des

enfants. La douleur à l'injection peut être plus intense chez certains enfants, et pour ceux qui l'utilisent, il existe des différences en ce qui concerne le cache-aiguille qui serait moins pratique que certains autres fournis par d'autres laboratoires.

Les seringues à usage unique sont jugées pratiques pour les parents, en particulier lors des voyages et par le fait qu'elles sont prêtes à l'emploi et de conservation à température ambiante.

La reconstitution pour certaines formes (Genotropin Pen) est jugée peu agréable par les parents qui ont eu des stylos injecteurs « prêts à l'emploi »

Aucune remarque n'a été émise de manière négative sur l'efficacité sur le gain de taille, qui est perçue satisfaisante chez tous les répondants.

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 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 ?

Les parents, les enfants attendent l'arrivée de l'hormone de croissance hebdomadaire dans cette indication puisqu'elle est déjà disponible pour les enfants déficitaires en hormone de croissance.

Ils espèrent que toutes les indications actuelles des hormones de croissance quotidiennes pourront être relayées par l'hormone de croissance hebdomadaire.

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 ?

Pas de craintes particulières

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoce 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 confidentialité, et

³ Également appelées « variables d'intérêt »

ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

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

- Oui
- Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



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

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

- Oui
- Non

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



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

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

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

La grande majorité des enfants de petite taille font l'objet de moquerie, voire de harcèlement à l'école et en souffre, le traitement par hormone de croissance, quand il est possible, est vécu comme une solution miraculeuse par ceux qui y ont accès. En effet la prise de centimètres est très visible, dès les premiers mois de traitement, dans la très grande majorité des cas.

Il existe une errance diagnostique chez bon nombre de patients, les parents ne sont pas pris au sérieux par les médecins lorsqu'ils s'inquiètent de la petite taille de leur enfant. Trop d'enfants sont encore diagnostiqués trop tard alors que la puberté arrive, voire après la puberté, rendant le traitement par hormone de croissance peu utile, voire inutile. le RCIU fait partie des maladies rares, c'est une pathologie difficile à diagnostiquer. Le nombre de médecins spécialistes formés à la prise en charge de ces patients est restreint. Dans le cadre des enfants nés petits pour l'âge gestationnel, plus le traitement est débuté tôt, plus il sera efficace, d'où l'importance d'un diagnostic précoce, ce qui n'est pas toujours le cas, le retard de croissance des enfants nés petits pour l'âge gestationnel n'est pas correctement diagnostiqué et ces enfants ne sont pas suivis correctement lors des premières années de vie dans une trop grande majorité des cas.

Le retentissement de la maladie et du traitement sur la vie de ces enfants et de leurs parents est important et souvent sous-estimé : impact sur la vie sociale et scolaire, fatigabilité, sur le quotidien, le retentissement psychologique et l'impact financier également. La contrainte de l'injection quotidienne est également un vrai fardeau.

Le mode de conservation est une contrainte pour les patients.

Les effets secondaires sont très peu nombreux, le gain de taille est apprécié par les enfants et les parents, d'autant plus que le traitement est débuté tôt.

Les patients attendent, dans cette indication, avec impatience l'arrivée de l'hormone de croissance hebdomadaire qui est maintenant disponible dans d'autres indications.

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 ?

L'association a fait appel à ses adhérents à l'aide d'un questionnaire. L'impact de la maladie (petite taille chez l'enfant et retentissement de l'absence d'hormone de croissance chez les adultes sont bien documentés dans l'association qui existe depuis 1979.

Par ailleurs des enquêtes sont régulièrement faites et de témoignages recueillis sur le retentissement de la petite taille chez les enfants avec troubles de la croissance.

Le groupe des adhérents de l'association composé des adultes déficitaires hypophysaires s'expriment régulièrement en réunions par visio sur leurs difficultés.

Les réseaux sociaux, dont le Facebook de l'association sont également un vecteur d'informations.

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

Nous avons fait appel à nos adhérents dont l'enfant est traité ou a été traité par GENOTONORM et entrant dans la catégorie RCIU à l'aide d'un questionnaire à remplir. Nous avons reçu une vingtaine de réponses à ces questionnaires.

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

La présidente de l'association Béatrice Demaret et les adhérents ayant accepté de répondre au questionnaire

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

Pas d'aide extérieure

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

Une cinquantaine d'heures a été nécessaire.

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

Pas de difficultés particulières

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

