

---

**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

---

<b>Introduction</b>	<b>3</b>
<b>NOTE IMPORTANTE</b>	<b>4</b>
<b>Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.</b>	<b>5</b>
<b>Médicament sur lequel porte cette contribution</b>	<b>10</b>
<b>1. Questionnaire – Partie A</b>	<b>11</b>
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	13
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	16
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	17
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	18
<b>2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)</b>	<b>19</b>
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	19
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	20
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	21
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	21
<b>3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition</b>	<b>23</b>
<b>4. Questionnaire – Partie D : Synthèse</b>	<b>24</b>
<b>5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques</b>	<b>25</b>
<b>6. Questionnaire – Partie F : Méthodes</b>	<b>26</b>

# 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](mailto: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](mailto: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](http://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 :

FIRENDO, Eurordis, Endo Ern et Alliance Maladies Rares - ICOSEP

# Médicament sur lequel porte cette contribution

**Nom commercial :**

UMATROPE

**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 récupéré 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 : « *j'ai dû me battre avec les médecins pour que la petite taille de mon fils soit prise en compte – je ne comprends pas pourquoi il a fallu que ma fille ait 11 ans pour qu'on lui prescrive enfin le traitement, alors qu'elle était suivie régulièrement* ».

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

*« La petite taille de notre enfant âgé de 13 ans a des répercussions dans sa vie sociale. Il a peu d'amis et rencontre des difficultés d'intégration dans sa classe au collège. De plus, il souffre d'être pris pour une enfant beaucoup plus jeune par les adultes qu'il rencontre et ne traitent pas comme un adolescent, se comportent avec lui comme avec un enfant de 8 ans. »*

*« Ma fille était beaucoup moins haute que les enfants de son âge et il était fréquent qu'adultes comme enfants soient incrédules quant à son âge réel. Il a fallu qu'elle me demande de valider son âge auprès d'interlocuteurs. Dans une activité sportive, le coach l'a traitée comme une enfant de 6 ans alors qu'elle en avait 10. Ce qui était désagréable pour elle. Je pense qu'elle est plus agressive qu'elle n'aurait été si elle n'avait pas eu de différence. Coté sociale, il était frustrant pour ma fille de ne pas accéder aux activités de son âge (manèges en fête foraine) du fait de sa taille. Pour ma part, je craignais que sa taille l'empêche de conduire plus tard »*

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

*« La fatigue physique est très importante car mon fils doit compenser sa petite taille par des exploits physiques quotidiens pour arriver à faire ce que ces camarades font.*

*Certaines activités de la vie quotidiennes sont soit très difficiles, soit impossibles, il ne peut pas faire certains manèges ou activités sportives à cause de sa petite taille ce qui le met à l'écart des autres autant à l'école qu'en famille. (Acrobranche, rugby, Futuroscope etc.)*

*Pour se déplacer il ne peut pas marcher autant qu'un enfant de son âge, il devrait pouvoir faire de petites randonnées mais nous sommes obligés de finir par le porter.*

*Les hormones lui permettent de grandir normalement et on espère pouvoir gommer les écarts avec les autres enfants du même âge.*

*A l'école il a des difficultés à s'adapter car il a tendance à vouloir suivre les enfants de sa taille mais qui ne sont pas de son niveau car plus jeunes.*

*A l'école il manque de force notamment pour la prise en main des stylos ou il fatigue vite et perd le maintien.*

*Il ne sait pas se comporter comme un enfant de son âge dans le sens où sa petite taille lui permet de faire des choses qu'il ne devrait pas faire à son âge, comme monter s'asseoir sur une table ou se comporter en bébé (demande + des bras et du portage en berceau etc.) ce qui l'infantilise.*

*Il est souvent malade et loupe l'école du coup il ne peut plus tout rattraper et commence à avoir du retard ».*

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 patients<sup>1</sup> qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

---

<sup>1</sup> 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

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



*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. « *Impossible de prendre une voiture sans siège auto-*

---

patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

*bébé car il n'a pas encore le poids et la taille requise pour un réhausseur du coup les mamans des camarades ne peuvent pas le prendre ce qui m'oblige à assurer seule l'intégralité des transports.*

*Le fait qu'il soit souvent malade m'oblige à le garder à la maison et à ne pas travailler. Ce qui impacte notre vie financière ainsi que ma vie sociale ».*

*« Le retard de croissance de notre fille a un impact sur le quotidien : rendez-vous médicaux très régulièrement, fatigue, inquiétudes pour le présent, angoisses pour l'avenir de notre enfant, etc. L'achat de matériel adapté, de compléments alimentaires sont coûteux ».*

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). Certains parents n'envoient pas leur enfant en classe verte par peur que le traitement ne soit pas administré correctement.*

## 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 pour 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. Les parents se plaignent du surcout financier.

### **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)!

Certains parents/enfants jugent l'injection facile avec l'Umatrope, le cache-aiguille est apprécié par certains enfants ainsi que la facilité d'utilisation.

Mais les avis divergent en fonction de l'appropriation du dispositif par les parents (certains trouvent la reconstitution fastidieuse) et tous attendent le traitement par Gh hebdomadaire.

### 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 ont 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 UMATROPE qui doit se conserver au frais et qui nécessite une reconstitution du produit.

« principaux inconvénients de l'Umatrope :

- *Douleurs* (mais tous les parents/enfants ne sont pas d'accord, la douleur étant un paramètre subjectif)
- *Nécessité de mélanger le produit pour pouvoir l'utiliser*
- *Conservation au frigo exclusivement*

« Nécessité de purger le stylo »

« Le stylo se conserve au frais, ce qui complique les déplacements sur de longs trajets ».

« Le principal problème avec umatrophe est son mode de conservation, qui n'est pas compatible avec les déplacements. Le frigo c'est bien à la maison, en dehors, ça devient très compliqué ».

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, dans la grande majorité des cas.

Deux parents ont néanmoins exprimé des craintes sur les effets à long terme du traitement par hormone de croissance.

## 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 notamment<sup>2</sup> 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.*

---

<sup>2</sup> 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 fin<sup>3</sup>.



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](mailto:contact.contribution@has-sante.fr). La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et

<sup>3</sup> 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 plus 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) est bien documenté 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 parents d'enfants avec petite taille s'exprime 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 UMATROPE et entrant dans la catégorie RCIU à l'aide d'un questionnaire à remplir. Nous avons reçu une quinzaine de réponses à ce questionnaire.

#### 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, en dehors du fait que je simplifie le questionnaire que j'adresse aux adhérents, car ce questionnaire dans sa forme ci-dessus est trop compliqué à comprendre pour les parents.

## **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](http://www.has-sante.fr)

---

