
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

Mise à jour mars 2024

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	13
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	14
1.3. Le médicament évalué	16
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)	17
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	17
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	17
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	19
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	21
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	22
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	22
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	24
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	25
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	26
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	27

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

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

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

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

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



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

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

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

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

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

Note importante

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

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

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

La CT souligne l'intérêt de disposer d'informations spécifiques à toutes les tranches d'âges, en particulier les enfants et les adolescents.

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

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

ASSOCIATION POUR L'INFORMATION ET LA RECHERCHE SUR LES MALADIES RENALES GENETIQUES . AIRG-France

Site internet :

airg-France.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

BP 78 75006 PARIS

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 : l'Association est membre de l'Alliance Maladies rares

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

FILSPARI

Dénomination commune internationale (DCI) :

SPARSENTAN

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

Traitement de la néphropathie à immunoglobulines A primitive (N-IGA) chez les adultes avec une protéinurie =1,0g/ jour (ou un rapport protéinurie/créatinurie-RPCU = 0,75g/g (en vue de remboursement) après un traitement néphroprotecteur standard optimisé, sauf contre-indication ou intolérance (accès précoce)

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.

X En vue du remboursement de droit commun

X 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 maladie de Berger, ou néphropathie à dépôts d'IgA, est la glomérulopathie la plus fréquente dans le monde, avec une incidence estimée à 2,5 pour 100,000 personnes par an. Parmi les malades diagnostiqués avec une maladie de Berger, 20% à 40% progressent jusqu'à l'insuffisance rénale terminale et finissent par avoir besoin d'un traitement en dialyse ou d'une transplantation rénale. Comme on le sait, ces traitements vitaux s'accompagnent d'effets secondaires importants et entraînent une dégradation importante et irréversible de la qualité de vie.¹

En résumé, il s'agit d'une maladie rénale chronique qui affecte profondément la vie des malades et qui entraîne toute une série de défis physiques et émotionnels.

D'abord, il faut bien réaliser qu'il ne s'agit pas d'une maladie « homogène ». La façon dont elle impacte la vie peut varier grandement d'un malade à l'autre.

Les conditions du diagnostic sont très inégales.

¹ IgA Nephropathy Patient Baseline Characteristics in the Sparsentan PROTECT Study, <https://doi.org/10.1016/j.ekir.2023.02.1086>

La maladie de Berger, le plus fréquemment découverte chez l'adulte jeune, est une maladie silencieuse car indolore, souvent diagnostiquée fortuitement ou bien en urgence pour les cas tardifs.

Chez certains, la maladie reste longtemps relativement « silencieuse » et ne sera découverte que « par chance », grâce à un examen des urines qui permettra d'identifier une hématurie microscopique et parfois une protéinurie². Ce sont souvent des dépistages fortuits dans le cadre de la médecine du travail ou par le passé dans le cadre de la médecine scolaire.

Souvent, avant le diagnostic, les malades peuvent être alertés par certains symptômes. En effet, la maladie de Berger peut se manifester par la présence visible de sang dans les urines, de l'hypertension artérielle, de maux de ventres (douleurs abdominales), ou encore de la fatigue et des infections liées à une faiblesse du système immunitaire (angine, rhume...). Certains patients se plaignent aussi de douleurs lombaires. Un autre symptôme pourtant visible mais ignoré car la maladie rénale n'en est pas la seule cause, c'est pour le malade d'avoir des urines moussantes.

Même avec des symptômes déclarés, le parcours pour accéder au bon diagnostic peut être long et compliqué : les examens se multiplient (radio, cystoscopie, etc.) avant qu'une biopsie rénale puisse permettre de confirmer la maladie. Ces symptômes peuvent être constants ou fluctuer, ce qui ajoute à l'incertitude et à l'anxiété des malades, sans compter la perte de temps pour démarrer la prise en charge adaptée.

Comme nous le disions, l'évolution de la maladie est généralement progressive sur plusieurs décennies. Lorsqu'elle n'est pas prise en charge car non diagnostiquée, elle conduit à une insuffisance rénale chronique terminale, nécessitant des traitements lourds comme la dialyse ou une transplantation. A ce stade avancé, l'insuffisance rénale entraîne de nombreuses complications comme :

- L'anémie (responsable de fatigue) ;
- Des complications cardiaques, en partie dues à l'hypertension artérielle ;
- Une dégradation des mécanismes de défense contre les infections ;
- Des anomalies des os dues aux perturbations des taux sanguins de calcium, de phosphore, des bicarbonates, et de l'hormone parathyroïdienne.

Cette évolution redoutée « bouche » l'horizon des malades. La plupart des patients sont diagnostiqués avant l'âge de 40 ans³. La question que se posent beaucoup de malades c'est si leur maladie progressera au stade terminal de l'insuffisance rénale, sans qu'ils puissent avoir une réponse claire : la progression de la maladie et sa vitesse varie énormément entre les malades.

Émotionnellement et psychologiquement, vivre avec la néphropathie à IgA est donc éprouvant. Les malades doivent faire face à la peur de l'avenir (angoisse du stade terminal), à l'incertitude de complications fluctuantes et au stress des consultations et des résultats d'analyses et des traitements médicaux. Il devient vraiment difficile de maîtriser son parcours de vie, quand on ne sait même pas quand et comment va progresser la maladie. Un suivi médical régulier impacte aussi la vie active de la personne, qui doit se libérer sur ses horaires de travail pour aller aux consultations des spécialistes.

Les contraintes alimentaires avec un régime hyposodé, hypo sucré ou restreint en protéines notamment, ont également un impact non négligeable sur la vie sociale du malade. Difficile de partager les mêmes repas ou moments conviviaux avec d'autres, l'environnement n'étant pas toujours au courant des problèmes de santé, en particulier au travail.

² <https://www.airg-france.fr/wp-content/uploads/2011/02/berger.pdf>

³ Long-Term Outcomes in IgA Nephropathy

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients⁴ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

<https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S1769725506000885>

https://www.researchgate.net/publication/245754377_Maladie_renale_genetique_et_accompagnement_psychologique_Vecu_et_attentes_des_patients

<https://www.santepubliquefrance.fr/docs/qualite-de-vie-des-patients-dialyses-et-transplantes-renaux-resultats-de-deux-enquetes-multiregionales-france>

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*

⁴ 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.

Quels sont les impacts de la maladie sur les proches ou les aidants ?

La maladie peut rapidement retentir sur la vie familiale et les relations sociales ou professionnelles.

Les aspects financiers sont aussi à ne pas négliger. Les éventuelles pertes de revenus dues à la réduction du temps de travail ou à l'arrêt de travail des malades peuvent mettre une pression supplémentaire sur le foyer mais aussi sur la vie sociale du malade. C'est notamment le cas lors de la phase terminale de l'insuffisance rénale, où la dialyse impose un bouleversement de l'organisation des temps personnels qui doivent s'articuler autour des séances (cas de la dialyse en centre ou à domicile).

La notion de perte impacte les malades comme la famille : perte de son emploi (impact social et financier, regard des autres), perte de son insouciance et de confiance en l'avenir. On en parle moins, mais une autre perte a des conséquences parfois lourdes sur le malade comme son conjoint : perte de son énergie et perte de sa libido (séparation, divorce, etc...)

Inquiétude des aidants liés à la superposition des rôles : « j'appréhende les années à venir, pourrais-je poursuivre mon travail, serais-je capable de mener à bien ma vie de famille ? » Pourrais-je encore avoir des enfants ? dans quelles conditions ? Angoisse et culpabilité des parents dans la transmission de la maladie.

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.

Il y a une idée fausse très répandue prétendant qu'il n'y a pas de traitement pour la maladie de Berger. S'il n'y a pas de traitement curatif de la maladie elle-même, on connaît maintenant des traitements qui protègent le rein et ralentissent l'évolution de la dégradation de la filtration qu'il faut utiliser le plus tôt possible.⁵

En première intention les traitements de la maladie de Berger font appel aux mesures de néphroprotection liées au mode de vie et à l'environnement du malade (régime alimentaire, tabac, diététique, etc.) ainsi qu'aux mesures de contrôle de la pression sanguine.

En deuxième intention, les recommandations pour le traitement de la maladie de Berger incluent les inhibiteurs du système renine-angiotensine-aldostérone avec des inhibiteurs de l'enzyme de conversion de l'angiotensine (IEC) ou des antagonistes des récepteurs de l'angiotensine (ARA)

Pour les malades dont la protéinurie reste élevée, les recommandations *Kidney Disease Improving Global Outcomes* KDIGO se limitent à l'inclusion dans une étude clinique.

Au-delà, au stade terminal, les seules thérapies disponibles sont la greffe ou la dialyse.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Aujourd'hui les traitements visent à préserver le rein sans s'attaquer aux causes réelles de cette maladie auto-immune qui se caractérise par la production trop importante de l'anticorps Immunoglobuline A qui se dépose dans les glomérules du rein et atteint ainsi progressivement ses capacités de filtration.

Il existe bien peu de données probantes de qualité pour indiquer si la prise en charge (qu'il s'agisse de traitements anti-inflammatoires, de traitements néphroprotecteurs ou de mesures type régime alimentaire) de la maladie de Berger aujourd'hui prévient réellement une baisse du DFGe ou de la protéinurie chez les patients atteints de la maladie de Berger.

De la même manière il existe peu d'étude sur les risques associés aux différents traitements et bénéfices ou risques qu'ils présentent, avant dialyse ou greffe. Enfin, il n'en existe plus du tout sur la prévention de la maladie et son risque de récurrence dans le cas d'une greffe. Les études sont également absentes pour ce qui est de la maladie chez les enfants et au niveau du purpura rhumatoïde, qui fait partie des glomérulonéphrites à IGA.

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 actuels sont des traitements de néphroprotection et non des traitements curatifs de la maladie. Ils ne parviennent pas à enrayer suffisamment la progression de la maladie et notamment en baissant la protéinurie : aujourd'hui tous les patients atteints de la maladie de Berger présentent le risque d'être un jour touchés par l'insuffisance rénale terminale. L'analyse des études et essais cliniques est sans ambiguïté sur les limites de ce qui est vu comme le standard de soins depuis 30

⁵ <https://www.airg-france.fr/wp-content/uploads/2011/02/berger.pdf>

ans pour le traitement de la néphropathie à IgA⁶. Trop de patients restent à haut risque de progression vers l'IRCT malgré les traitements actuels.

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.

⁶ [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(23\)02302-4](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(23)02302-4)

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

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

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



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

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



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

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

L'attente peut être résumée ainsi : disposer d'un traitement efficace pour enrayer ou au moins ralentir significativement la dégradation des reins et éloigner l'horizon de l'insuffisance rénale terminale, agir sur les symptômes physiques (fatigue, maux de ventre notamment) et qui soit bien toléré (sans effets indésirables comparables aux symptômes déjà existants de la maladie).

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

La maladie de Berger, ou néphropathie à dépôts d'IgA, est la glomérulopathie la plus fréquente dans le monde, avec une incidence estimée à 2.5 pour 100,000 personnes par an. Parmi les malades diagnostiqués avec une maladie de Berger, 20% à 40% progressent jusqu'à l'insuffisance rénale

terminale et requièrent un traitement en dialyse ou une transplantation rénale. Ces traitements vitaux s'accompagnent d'effets secondaires importants et d'une réduction importante de la qualité de vie.⁷

De plus, il s'agit d'une maladie progressive qui peut évoluer vers insuffisance rénale chronique terminale, dont les traitements, lourds et coûteux pour la collectivité, emportent également de nombreux effets indésirables pour les patients et les aidants (Cf 1.1.1 et 1.1.2).

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

Nous avons déjà répondu à cette question en 1.2.

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 notamment⁸ 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).*

Sans expérience directe du traitement, nous ne pouvons que nous référer à la littérature disponible, ainsi qu'à des résultats d'essais qui nous sont rapportés par des médecins que nous avons consultés.

L'essai de phase 2 DUET semble montrer que les patients traités avec le sparsentan ont vu une réduction de leur protéinurie, et donc de leur risque de progression de la maladie vers l'IRCT.

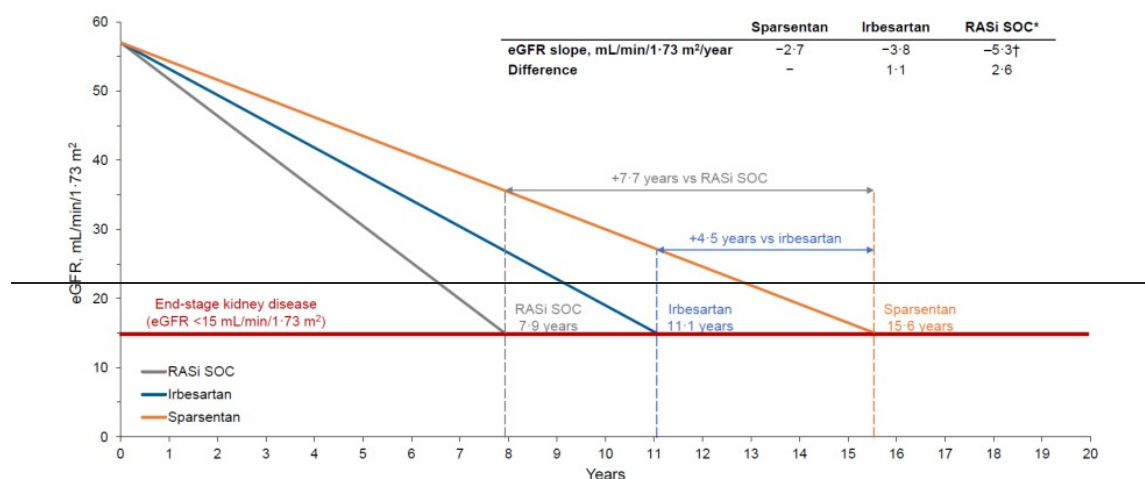
Nous avons intégré ci-après les tableaux issus d'un article montrant les effets du sparsentan sur pente du DFG.⁹ Le sparsentan présenterait une réelle amélioration sur la protection des reins et l'éloignement de l'IRCT.

⁷ IgA Nephropathy Patient Baseline Characteristics in the Sparsentan PROTECT Study, <https://doi.org/10.1016/j.ekir.2023.02.1086>

⁸ Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)

⁹ Supplement to: H Rovin B, Barratt J, Heerspink HJL, et al. Efficacy and safety of sparsentan versus irbesartan in patients with IgA nephropathy (PROTECT): 2-year results from a randomised, active-controlled, phase 3 trial. Lancet 2023; published online Nov 3. [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(23\)02302-4](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(23)02302-4).

Supplemental Figure 8. Potential long-term impact of improved eGFR slope



ACEi, angiotensin-converting enzyme inhibitor; ARB, angiotensin receptor blocker; eGFR, estimated glomerular filtration rate; RASi, renin-angiotensin system inhibitor; SOC, standard of care.

Baseline eGFR was set to 57 mL/min/1.73 m² (0 years), reflecting the mean eGFR of all patients (N=404) reported in this study.

* ACEi and/or ARB.

† Mean of observed chronic or total slopes for SOC ACEi/ARB as reported in 5 randomized controlled trials in IgAN⁶⁻¹⁰

De plus, il s'agirait d'une molécule spécialement étudiée pour les néphropathies à IGA, contrairement au reste des traitements actuellement disponibles.

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.



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

Quelles 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 ?

Les indicateurs biologiques sont déjà à disposition des néphrologues ou des biologistes médicaux quand la maladie est encore à un stade précoce. En revanche des questionnaires de qualité de vie/effets secondaires peuvent être mobilisés, type KDQOL. Il serait également intéressant de pouvoir investiguer le fardeau des traitements : le mode et le rythme de prise du traitement ne doit pas être un frein à l'observance du traitement.

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 fin¹⁰.

¹⁰ Également appelées « variables d'intérêt »



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

x Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



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

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

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

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Si oui, quelles sont les coordonnées de la personne référente ?

Nom – Prénom :

Adresse mail :

Téléphone :

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.

Les traitements actuels de la maladie de Berger sont aujourd'hui insuffisants pour enrayer efficacement la progression de la maladie vers l'IRCT. Aussi, il s'agit de traitements uniquement dirigés sur les symptômes (qu'il s'agisse de traitements anti-inflammatoires ou de traitement néphroprotecteurs) mais pas aux causes réelles de la maladie.

Nous n'avons pas d'expérience directe du sparsentan, ce que nous pouvons en dire ressort de la littérature et de nos entretiens avec des professionnels de santé. Ce traitement est intéressant à trois titres :

- D'après la littérature il montrerait une efficacité à ralentir la courbe de diminution du DFG et donc à éloigner le risque de l'IRCT, plus favorable qu'avec les traitements disponibles actuellement
- Il s'agit d'un traitement spécialement étudié pour les patients atteints de néphropathie à dépôts d'IGA, ce qui est suffisamment rare pour être noté
- Il permet au patient de disposer d'alternatives de traitements qui leur soient adaptés

Au-delà nous n'avons pas de réelle visibilité sur l'impact du traitement (tolérance et impact de qualité de vie).

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 ?

Nous sommes partis de notre expérience de malades et nous avons mené également des entretiens avec des professionnels de santé ainsi qu'une revue de littérature

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

Nous sommes partis de notre expérience de malades et nous avons mené également des entretiens avec des professionnels de santé ainsi qu'une revue de littérature

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

Hélène Monnier, Bénévole AIRG et patiente maladie de Berger.

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

Oui, pour la revue de littérature et l'organisation des entretiens avec les professionnels de santé, nous avons eu l'aide de Fabrice Bossaert, consultant et patient expert.

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

3 jours en cumulé

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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](#).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

