



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

---

**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

---

<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>6</b>
<b>1. Questionnaire – Partie A</b>	<b>7</b>
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	7
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	7
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	9
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	9
1.3. Le médicament évalué	11
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	11
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	12
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	12
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	12
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	12
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	12
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	13
<b>2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)</b>	<b>14</b>
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	14
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	15
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	16
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	16
<b>3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition</b>	<b>18</b>
<b>4. Questionnaire – Partie D : Synthèse</b>	<b>19</b>
<b>5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques</b>	<b>20</b>
<b>6. Questionnaire – Partie F : Méthodes</b>	<b>21</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 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](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

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) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

APIMEO – Association Pour l'Information sur les Maladies à Eosinophiles

### Site internet :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Instagram : association\_apimeo

X : @APIMEO\_

LinkedIn : Apimeo association

YouTube : Association APIMEO

### Adresse postale (le cas échéant) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

APIMEO Association

B.P. 14

92 340 BOURG – LA – REINE

### Nature de la structure :

Association agréée au niveau national

Association agréée au niveau régional

Association non agréée Associations de patients au niveau national

Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir). Nous travaillons avec les filières MARIH, et FIMATHO (Pr Frédéric GOTTRAND, Coordinateur) et avec le Centre de Référence CEREO, (Pr Jean-Emmanuel KAHN, Responsable du CEREO et Dr Matthieu GROH)

# Médicament sur lequel porte cette contribution

## Nom commercial :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

<b>DUPIXENT dupilumab</b>	Accès précoce - Première demande pré-AMM	Est indiqué chez les adultes en traitement de fond additionnel de la bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO) associée à une inflammation de type 2, non contrôlée par une association corticoïdes inhalés (CSI), bêta-2-agoniste à longue durée d'action (LABA) et antagoniste muscarinique de longue durée d'action (LAMA) ou LABA/LAMA en cas de contre-indication aux CSI	13/06/24
	Remboursement - Extension d'indication	Est indiqué dans le traitement de l'oesophagite à éosinophiles, chez l'adulte et l'adolescent âgé de 12 ans et plus et pesant au moins 40 kg, en cas d'échec, de contre-indication ou d'intolérance aux traitements médicamenteux conventionnels.	06/06/24

## Dénomination commune internationale (DCI) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

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

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 ?**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

##### **Symptômes/douleur :**

- **Sensation de gênes-de brûlure- d'irritation au niveau de l'œsophage (/la gorge)**
- **Sensation d'étouffement/de blocage alimentaire**
- **Difficultés à avaler**
- **Remontées acides**
- **Douleurs à l'œsophage et abdominales invalidantes au quotidien bloquant le fonctionnement normal du patient au quotidien**

##### **Vie quotidienne :**

- **Difficulté à s'alimenter,**

- Eviction de certains aliments qui suscitent des crises (pour certains patients cas sévères éviction d'une très grande quantité d'aliments) compliquant l'alimentation et déséquilibrant celle ci
- Régimes alimentaires spécifiques (varie en fonction des patients : sans allergènes, anti-inflammatoire, en évitant les aliments créant de l'acidité...)
- Charge mentale importante : rendez-vous médicaux, traitements
- Absences constantes (école, travail)

#### Vie sociale :

- Evitement des temps de repas en groupe
- Refus de sorties si elles impliquent un temps de repas (restaurant...)
- Replie sur soi (symptômes, fatigue)

#### Vie professionnel :

- Symptômes parfois imprévisibles/hospitalisation qui peuvent entraîner des absences
- Difficultés pour assister à des événements professionnels qui impliquent des repas (dîner professionnel,

#### Fatigue :

- Fatigue (chronique ?) liée à la difficulté à s'alimenter
- Fatigue mentale (gestion de son suivi médical, impacts psychologiques)

#### Impacts psychologiques :

- Angoisse/déprime lié à l'absence de perspectives de guérison définitive
- Sentiment d'isolement

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 ?

Non

Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

---

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

Questionnaires que élaborés par nos soins et questionnaires élaborés avec des médecins ou par des études auxquelles nous avons participé avec d'autres partenaires.

### 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 ?**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

- Très grande fatigue
- Incapacité de soulager la douleur
- Absence du travail (parents de jeunes enfants mais aussi adolescents)
- Cout financier des régimes, de soins (osthéo , suivi psychologique)

## 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.**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Médicaments :

- Jorveza/budésonide
- Corticoïdes
- Inhibiteurs de la pompe à protons

Autre :

- Recherche des éventuelles allergies
- Régime d'éviction ( proposé aux enfants)

**Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

**Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

- Echec des traitements existants chez certains patients

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Certains patients ne voient pas une réduction significative de leurs symptômes avec les traitements existants.

### 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 secondaire, 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 ?**

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.*

- Efficacité pour tous les patients atteints de la maladie

- Mode d'administration adapté aux patients atteints de la pathologie (pas de médicament à avaler)
- Connaissance des effets secondaires

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

#### 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)

- Quels sont les effets secondaires ?
-

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



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

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



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

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

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



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

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

**Quelles sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?**



*Cette question porte sur le caractère innovant de l'usage du produit pour lequel la demande d'autorisation d'accès précoce est demandée.*

*Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose 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,*

<sup>3</sup> Également appelées « variables d'intérêt »

*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 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

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

Nom – Prénom : Irena CLISSON RUSEK et Iris MOFFA

Adresse mail : coordonnées plus haut dans le document

Téléphone :

#### **Pour quelles raisons ?**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Pour apporter plus d'éléments si nécessaire afin de mieux faire comprendre l'impact invalidant de cette pathologie dont une des conséquences est un handicap invisible dont souffrent les patients (enfants et adultes) avec un grand impact pouvant être très invalidant et isolant dans leur quotidien. La pathologie est encore peu connue même si les actions progressent et très souvent mal comprises même par un entourage proche renseigné. Ce dont souffrent les patients.

Certaines parties du document remplies peuvent être complétées à l'oral.

## 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.*

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

## 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 ?**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

**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'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)

---

