



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

Introduction	3
Note importante	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	8
1. Questionnaire – Partie A	9
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	9
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	9
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	10
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	12
1.3. Le médicament évalué	14
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	14
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	15
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	15
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	19
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	20
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	20
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	21
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	22
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	22
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	23
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	24
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	24
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	26
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	27
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	29
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	30

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) :

Vaincre la Mucoviscidose

Site internet :

<https://www.vaincrelamuco.org>

Adresse postale (le cas échéant) :

181 rue de Tolbiac 75013 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 :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

Oui

Non



Vous devez remplir cette rubrique même si vous avez coché 'non' à la question ci-dessus. Votre décision sera respectée.

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine de votre financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), sur les trois dernières années.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : 13 073 873 €
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 14 938 083 €
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 14 850 000 €
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 14 235 547€.

Tableau 1 : Sources de financement

Année 2024	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
Cotisations	Sans contrepartie	137 248 €	1.0%
Dons des particuliers, legs et mécénats	Dons, legs, mécénats : collecte directe ou lors des manifestations	8 594 799 €	60,5%
Autres produits appel à générosité publique	Associations et produits financiers GP	194 092 €	1.4%
Parrainage des entreprises	Partenariats	174 568 €	1,2%
Contributions financières sans contrepartie	Subventions d'associations	1 645 459 €	11.6%

Autres produits	Produits des manifestations	2 807 208 €	19,8%
<i>Dont laboratoires pharmaceutiques</i>	<i>Prestations vendues aux laboratoires</i>	825 660 €	5,8%
Subventions publiques et privés	Subventions et concours publics	658 733 €	4.6%
TOTAL ACTIVITES 2024		14 212 107 €	100%
Reprises, fonds dédiés et reportés	Hors budget d'activités	23 440 €	-
TOTAL PRODUITS 2024		14 235 547 €	100 %

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Kaftrio® en association avec Kalydeco®

Dénomination commune internationale (DCI) :

elexacaftor, tézacaftor, ivacaftor / ivacaftor

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

Traitement des patients atteints de mucoviscidose âgés de 2 ans et plus, porteurs d'au moins une mutation autre que de classe I du gène CFTR et non porteur d'une mutation F508del.

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

Renouvellement d'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 ?

Les symptômes de la maladie sont divers et nombreux et impactent lourdement la qualité de vie des patients et de leur famille. Les principaux symptômes sont respiratoires (respiration difficile à l'effort et/ou au repos, essoufflement, toux fréquente, bronchorrhée, crachats épais...), digestifs (douleurs abdominales, troubles nutritionnels, difficultés alimentaires précoces, diarrhée graisseuse, constipation...) et nutritionnels (croissance staturo-pondérale ralentie, jusqu'à la dénutrition). Les soins débutent dès le diagnostic porté aux termes du dépistage néonatal (mis en place en 2002), soit en moyenne entre 3 et 5 semaines de vie. Ils sont pluriquotidiens et combinent une séance de kinésithérapie respiratoire 7 jours sur 7, des extraits pancréatiques au début de chacun des repas, des vitamines liposolubles, un régime normo lipidique hypercalorique, une supplémentation en chlorure de sodium, des antibiothérapies fréquentes par voie orale, nébulisée ou intra-veineuse (à l'hôpital) et des bronchodilatateurs nébulisés. Outre les soins, des actes de prévention sont fortement recommandés comme la vaccination antigrippale annuelle, à l'automne, qui est accessible dès l'âge de 6 mois.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

Non

Oui, lesquels ?

Oui il existe un questionnaire pour le recueil des données de qualité de vie (CFQ-R) adapté aux patients à partir de 6 ans.

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 soins, kinésithérapie et nébulisations tout particulièrement, mobilisent les patients et les proches/aidants durant une à deux heures par jour environ, selon les périodes et les patients. Les infections respiratoires fréquentes, nécessitent des cures d'antibiotiques et parfois des hospitalisations, avec un impact sur la vie des patients (scolarité, vie étudiante, travail, vie sociale...) et de

¹ Parfois appelés PROMs. Les 'Patient reported outcomes measures' sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

leur entourage.

Au quotidien, la sensibilité aux infections broncho-pulmonaires impose de respecter certaines règles d'hygiène (lavage régulier des mains, nettoyage rigoureux des appareils pour les aérosols, éviction des eaux croupissantes et désinfection régulière des siphons dans l'environnement domestique du fait de la sensibilité à certaines bactéries hydrophiles comme *Pseudomonas aeruginosa*, etc.) et le maintien d'un environnement respiratoire sain (par exemple éviction du tabac). La prévention des infections respiratoires conduit à ne pas recommander la fréquentation des collectivités d'enfants pendant la première année de vie. De façon plus générale, les patients doivent être vigilants aux risques de contamination tout au long de leur vie.

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

L'essoufflement et la fatigue chronique liés à la maladie peuvent rendre difficile la réalisation des activités du quotidien ou simplement de jouer pour les jeunes patients. L'anxiété et la dépression touchent les jeunes et les adultes à des fréquences telles qu'elles nécessitent d'être dépistées systématiquement et régulièrement, non seulement chez les patients, mais aussi chez les parents et les aidants. Elles ont un impact important sur la qualité de vie, mais également sur l'adhérence et donc l'observance aux traitements et entraînent des coûts plus importants en termes de soins.

– **Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur**

La difficulté à digérer les graisses peut entraîner une dénutrition et un retard de croissance staturo-pondéral.

La mucoviscidose n'entrave pas le développement psychomoteur de l'enfant.

– **Activités de la vie quotidienne :**

Les symptômes de la maladie peuvent rendre difficile la réalisation de tâches du quotidien comme faire des courses, la cuisine, prendre une douche ou simplement jouer pour les enfants.

– **Mobilité/déplacement :**

L'activité physique est recommandée, mais elle doit être adaptée car les symptômes liés à la maladie peuvent limiter les efforts physiques.

– **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**

Les jeunes atteints de mucoviscidose suivent le plus souvent une scolarité en milieu ordinaire, mais avec des besoins spécifiques. Une prise en charge est à mettre en place en fonction de ces besoins avec des aménagements, des adaptations et des aides ciblées avec notamment la mise en place de PAI (Plan d'Accueil Individualisé) pour les enfants et les adolescents.

Se rendre à l'école et prendre part aux activités périscolaires peut parfois être difficile.

Pour les patients adultes, l'insertion et le maintien dans la vie professionnelle peut s'avérer difficile. Des aménagements sont nécessaires selon les besoins des patients (temps partiel, aménagement des horaires de travail...).

La maladie peut perturber l'activité professionnelle des parents compte tenu de la fatigue chronique présente chez la majorité des patients, de la lourdeur des soins quotidiens et des hospitalisations.

– **Vie sociale :**

La maladie perturbe souvent le champ relationnel. Il n'est pas rare que le caractère invisible du handicap participe à la marginalisation sociale. L'estime de soi est malmenée pour les patients : difficulté à parler de sa maladie, perturbation de l'image corporelle (cicatrices, gastrostomie, site veineux implantable sous la peau, maigreur...). A l'école les enfants doivent parfois faire face à la méconnaissance de la maladie et expliquer qu'elle n'est pas contagieuse.

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.

Veillez-vous référer au Protocole National de Diagnostic et de Soins (PNDS) Mucoviscidose disponible sur le site internet de l'HAS.

Pour les troubles respiratoires : kinésithérapie respiratoire ; activité physique adaptée (APA) ; fluidifiants bronchodilatateurs ; corticoïdes ; antibiothérapie inhalée, orale ou intraveineuse ; vaccination (selon le calendrier vaccinal, et grippe chaque année).

Pour les troubles digestifs et nutritionnels : extraits pancréatiques, supplémentation vitaminique et calorique, apports hydro-sodés majorés, alimentation entérale possible.

Depuis 2012, de nouveaux traitements modulateurs de la protéine CFTR ont été mis sur le marché :

- Kalydeco® (laboratoire Vertex pharmaceuticals) est indiqué pour les patients à partir de 4 mois porteurs au moins d'une mutation gating du gène CFTR. Un nombre très limité de patients concernés par l'indication mentionnée pour ce dossier (ceux avec une mutation gating) bénéficient ou peuvent avoir bénéficié d'un traitement par Kalydeco®.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Pour ce qui est des traitements symptomatiques, ils sont indispensables que cela soit au quotidien ou lors des exacerbations.

Concernant Kalydeco, les résultats obtenus ont été tels sur le plan respiratoire, digestif, nutritionnel avec un profil de tolérance tout à fait acceptable que le 1^{er} traitement modulateur de CFTR s'est vu délivrer par la HAS un SMR important et une ASMR de niveau 2. La molécule intervenant au plus près du mécanisme à l'origine de la maladie, ce médicament a démontré, pour la première fois, une capacité à corriger ou normaliser le test de la sueur (le dosage du chlore sudoral permettant le diagnostic de la mucoviscidose).

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

L'usage à long terme des traitements symptomatiques existants entraîne des conséquences iatrogéniques telles que surdité, insuffisance rénale, allergie, résistance aux antibiotiques, thromboses vasculaires. Ces traitements symptomatiques sont peu efficaces et très contraignants avec des besoins d'hospitalisation pour certains.

Kalydeco® s'adresse à une population très restreinte ce qui limite l'accès à ce traitement pour beaucoup de patients. Selon les données 2023 du Registre, 92 patients ont été traités par Kalydeco en 2023, tout âge confondu. Étant donné que la population cible pour le Kalydeco est relativement faible, il est nécessaire, en raison du nombre limité de patients traités d'observer sur le long terme l'étendue des effets indésirables afin de pouvoir la documenter pleinement.

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 actuellement proposés pour la mucoviscidose présentent des limitations notables en termes d'efficacité et de tolérance. En effet, les traitements symptomatiques ne s'attaquent pas à la cause sous-jacente de la maladie, mais uniquement aux symptômes liés à la pathologie. Cela permet d'en atténuer certains, mais n'offre pas de solution curative ni de véritable amélioration de la qualité de vie à long terme.

Quant à Kalydeco, bien qu'il représente une avancée thérapeutique majeure, il ne concerne que 2 à 3% des patients atteints de mucoviscidose. En effet, le traitement cible uniquement certaines mutations du gène CFTR et ne bénéficie donc qu'à une portion de la population des patients.

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.

Le libellé de l'indication est correct par rapport à la demande d'extension de l'AMM. La mise en place du cadre de prescription compassionnelle (CPC) a permis de mettre en évidence que des patients non porteurs d'une mutation F508del du gène CFTR sont aussi « répondeurs » au Kaftrio/Kalydeco, selon la nature de leurs mutations. Lorsque les patients non porteurs d'une mutation F508del sont répondeurs, le bénéfice du traitement est équivalent à celui observé pour les patients ayant la mutation F508del, tant en termes d'efficacité, de tolérance et de sécurité.



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.

Pour faire état des principales améliorations constatées, Vaincre la Mucoviscidose s'est basée sur sa connaissance de la maladie du fait de son expérience dans les domaines du soin, de la recherche et de la qualité de vie des patients, des études en vie réelle qu'elle finance et qui sont intégrées au registre français de la mucoviscidose qu'elle gère.

Grâce au cadre de prescription compassionnelle délivré par l'ANSM, il a été démontré que Kaftrio/Kalydeco avait un effet bénéfique pour d'autres mutations non F508del. Dans le cadre de ce programme compassionnel, plus de 600 patients non porteurs de la mutation F508del ont pu tester Kaftrio/Kalydeco. Pour 50 % d'entre eux, cet essai a été bénéfique et ils continuent de prendre au long cours le traitement. De tels résultats ont donné lieu à diverses publications et conduit l'agence européenne du médicament à donner un avis favorable à l'extension d'indication mentionnée dans ce dossier :

Burgel PR, Sermet-Gaudelus I, Durieu I, Kanaan R, Macey J, Grenet D, et al. The french compassionate program of elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor in people with cystic fibrosis with advanced lung disease and no F508del CFTR variant. *Eur Respir J* 2023

Burgel PR, Sermet-Gaudelus I, Girodon E, Kanaan R, Le Bihan J, Remus N, et al. Gathering real-world compassionate data to expand eligibility for elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor in people with cystic fibrosis with N1303K or other rare CFTR variants: a viewpoint. *Eur Respir J* 2024;63(1).

The expanded French compassionate programme for elexacaftor–tezacaftor–ivacaftor use in people with cystic fibrosis without a F508del CFTR variant: a real-world study. *Lancet Respir Med*, August 13, 2024

De plus, dès la parution de l'appel à contribution, un appel à témoignages a été lancé, auprès de patients et des parents de patients par l'intermédiaire des soignants des Centre de Ressources et de Compétences de la Mucoviscidose (CRCM) et auprès des administrateurs d'un groupe privé Facebook « Mon expérience Kaftrio® ».

Cet appel était destiné aux patients (ou parents de patients) âgés de 2 ans et plus non porteurs d'une mutation F508del, ayant au moins une mutation autre que de classe I et ayant débuté Kaftrio/Kalydeco.

Au total, **15** témoignages ont été reçus.

Ce faible nombre témoigne de l'avantage majeur de la mise en place du CPC. Les patients concernés par l'indication mentionnée dans cette contribution sont pour la plupart déjà traités par Kaftrio/Kalydeco. La mise à disposition du traitement pour ces patients étant acquise et n'est pas source d'inquiétude. Ainsi, les patients ne devaient pas ou très peu se sentir concernés par l'appel à témoignage que nous avons lancé. Ils ont été très peu à manifester un intérêt à apporter un témoignage dans le cadre de cette contribution.

Pour autant, nombreux ont été les témoignages de remerciement à l'égard de l'association et des pouvoirs publics à la suite de la mise en place du cadre de prescription compassionnelle. Ces patients qui pensaient ne pas pouvoir bénéficier de traitement lors des premières AMM, ont repris espoir alors qu'ils avaient le sentiment d'être victimes d'une double injustice : avoir la mucoviscidose et ne pas être éligible au traitement. Cet accès a été vécu pour eux comme une deuxième chance. Et pour 50 % d'entre eux, ils prennent à présent le traitement au long cours dans les mêmes conditions de sécurité et d'efficacité et de tolérance que pour les autres patients. Pour les autres, c'est-à-dire, ceux qui ont fait un essai non concluant du traitement, ils ont au moins la satisfaction d'avoir essayé et espèrent qu'un traitement aussi efficace leur soit destiné prochainement. Nombreux sont ceux qui soulignent la mobilisation importante de l'association, des pouvoirs publics et l'industrie pharmaceutique dans le combat contre la maladie. Il est vrai que pour ceux qui ne peuvent bénéficier du traitement en raison de leur profil génétique ou parce qu'ils ont bénéficié d'une transplantation pulmonaire, pour certains quelques mois avant la mise sur le marché du traitement, le sentiment d'être laissé pour compte perdure.

Nous présentons ci-après une synthèse des réponses obtenues :

7 patients : 6 patients de 18 ans et plus et 1 patient dans la tranche d'âge 16-17 ans

8 parents : 4 parents ayant un enfant dans la tranche d'âges 12-17 ans, 3 ayant un enfant de 6-11 ans et 1 parent ayant un enfant de 2-5 ans.

La mise sous traitement a été faite dans le cadre de l'accès compassionnel sauf pour l'enfant de 2-5 ans qui a eu le traitement via sa participation à un essai clinique. La durée de traitement est très variable avec 8 patients sous traitement depuis 1 à 2 ans, 5 depuis plus de 2 ans et 2 depuis moins de 6 mois.

3 patients ont, à ce jour arrêté le traitement :

- 2 pour cause d'absence d'effet sur l'état de santé (la durée de traitement a été pour les deux de < 6 mois)
- 1 pour cause d'effet indésirable (la durée de traitement a été de 18 mois)

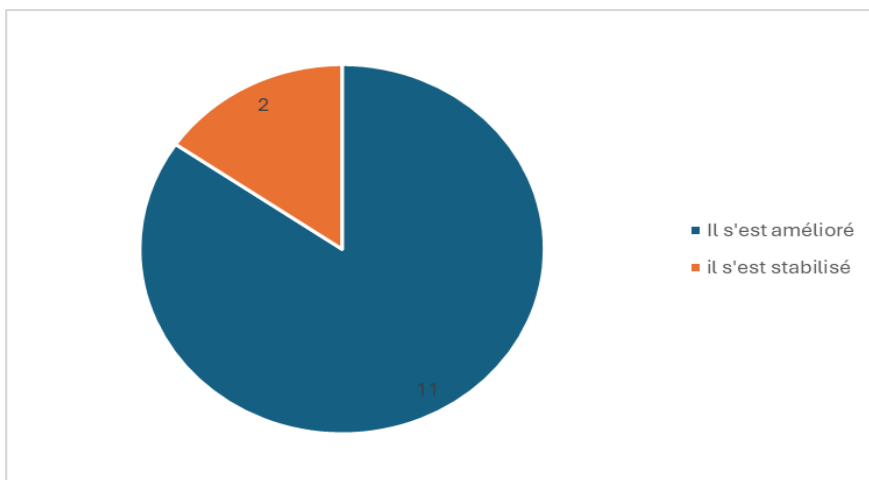
12 patients ayant témoigné sont encore sous traitement à ce jour.

La synthèse suivante va concerner uniquement les patients ayant été sous traitements plus de 1 an, soit 13 patients :

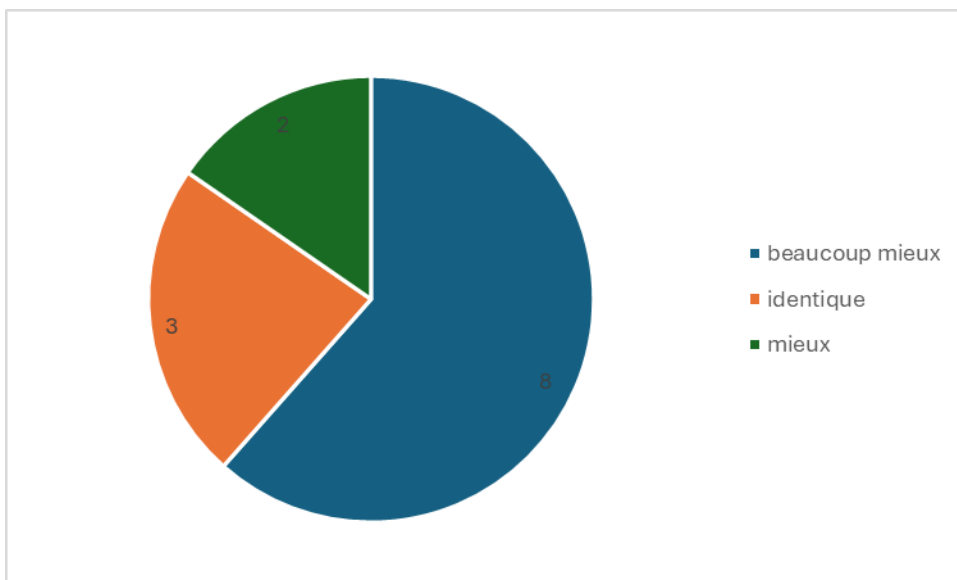
Les effets bénéfiques sur les atteintes principales (pulmonaire et digestive) sont bien là pour la majorité des patients. Le VEMS a augmenté, la prise de poids est constatée, l'activité physique a augmentée, le nombre d'hospitalisations et d'exacerbations a diminué.

Un patient a indiqué s'être lancé dans un projet parental depuis sa mise sous traitement.

Concernant l'état de santé depuis le début de Kaftrio/Kalydeco :



Depuis le début du traitement les patients se sentent :



Sur le sujet de **la vie sociale**, pour 8 patients leur vie sociale est plus importante depuis le début du traitement et pour les 5 autres elle est identique. Voici quelques verbatims :

« vie sociale plus active, je refais du sport, je peux parler plus longtemps, je suis à nouveau partie en voyage, je vois plus mes amis. »

« Depuis la prise de Kaftrio je suis en capacité de courir près de 5km et avoir une vie sociale plus étendue. »

« Ma vie a totalement changé depuis le début du traitement. J'étais sur liste pré greffe et Grace au traitement ma VEMS est passée de 24 à 40% »

« Plus de sport, plus de sortie, moins d'oxygène et diminution des séances de kiné respiratoire. »

« Reprise de sport, multiplication des contributions auprès d'associations, plus d'arrêt de travail, moins de fatigue »

L'impact sur le travail/la scolarité est positif :

« Moins d'absences scolaires, plus d'énergie et de concentration, plus de temps pour l'école car moins de traitements et de cures »

« Reprise du travail »

« Plus d'arrêt maladie, moins de fatigue »

« Reprise d'une activité professionnelle pour la maman et moins d'absences au travail pour les deux parents. Meilleur relationnel avec les collègues et responsables »

Concernant les **effets indésirables** liés au traitement, 5 patients mentionnent avoir eu des effets indésirables et pour 1 patient le traitement a été modifié (diminution de Kalydeco) et pour 1 autre arrêté.

"J'ai pris le Kaftrio 18 mois. Je l'ai arrêté depuis 4 mois. Je suis très mitigé. Il a amélioré un peu ma santé, mais beaucoup d'effets secondaires par rapport à l'amélioration"

Depuis le début de Kaftrio/Kalydeco , le **recours aux traitements symptomatiques** (kiné, aérosols...) ainsi que **temps passé** à prendre les traitements en lien avec la maladie a diminué pour 10 patients.

En **conclusion**, voici des verbatim en réponse à la question « comment décririez-vous l'impact de Kaftrio® sur votre qualité de vie et celle de vos proches ? »

« Génial contre la mucoviscidose, compliqué avec le comportement et le sommeil »

« Il a de bon et de mauvais côté, les bon côtés sont la prise de poids, l'évolution du VEMS, et stabilité du scanner niveau poumons, et côté négatif c'est les troubles de l'humeur, l'anxiété, les tics, et les insomnies »

« L'accès à ce traitement permet de diminuer mon inquiétude, en tant que parent, sur l'impact futur de la maladie sur mon enfant. Idem sur l'entourage même si cela sous-estime aussi parfois l'impact de la maladie, qui est encore moins visible. Moins d'impact sur la respiration, mais autant de médicaments. Impact TRES POSITIF »

« L'arrivée du traitement a radicalement changé mon quotidien, notamment ma capacité à faire de l'exercice et avoir une vie sociale plus importante mais avec beaucoup de problèmes psychologiques. »

« La qualité de vie de ma fille s'est améliorée, car elle n'a plus d'exacerbations, le nombre de séances de kiné a baissé »

« Merveilleux, une renaissance, Miraculeux. Nette amélioration »

« Stabilité de l'état bronchique mais colère et émotions difficiles à gérer. »

« très bénéfique car je me sens mieux, pas d'essoufflement à la marche, plus disponible avec ma famille. Malgré mon faible VEMS, je fais plus de choses qu'avant »

« Un impact énorme. Sa vie et celle de sa famille a complètement changé. C'est un miracle pour nous. »

En conclusion, de **façon globale** l'expérience du traitement Kaftrio/Kalydeco chez ces 13 patients ayant été sous traitement depuis plus de 12 mois met en lumière des conséquences positives pour l'ensemble des patients, qui semblent perdurer (au moins à 1-2 ans du traitement).

Les patients indiquent que Kaftrio/Kalydeco a changé leur vie, car pour une grande majorité ils sont en mesure de faire plus de choses qu'avant. Un allègement des soins leur permet de faire d'autres activités et notamment d'être plus disponibles pour leur entourage. L'impact du traitement sur la santé permet une meilleure condition physique et des relations sociales plus favorables.

Ce traitement bien qu'apportant une amélioration importante sur le plan respiratoire ne guérit pas la mucoviscidose. Les patients doivent apprendre à vivre avec une maladie chronique plus ou moins stabilisée sur le plan respiratoire.

Les témoignages reçus sont similaires à ceux des patients, porteurs d'une mutation F508del et qui ont pu accéder au traitement dans le cadre des précédentes AMM, tant en termes d'efficacité, de sécurité, d'effets indésirables et d'amélioration de la qualité de vie.

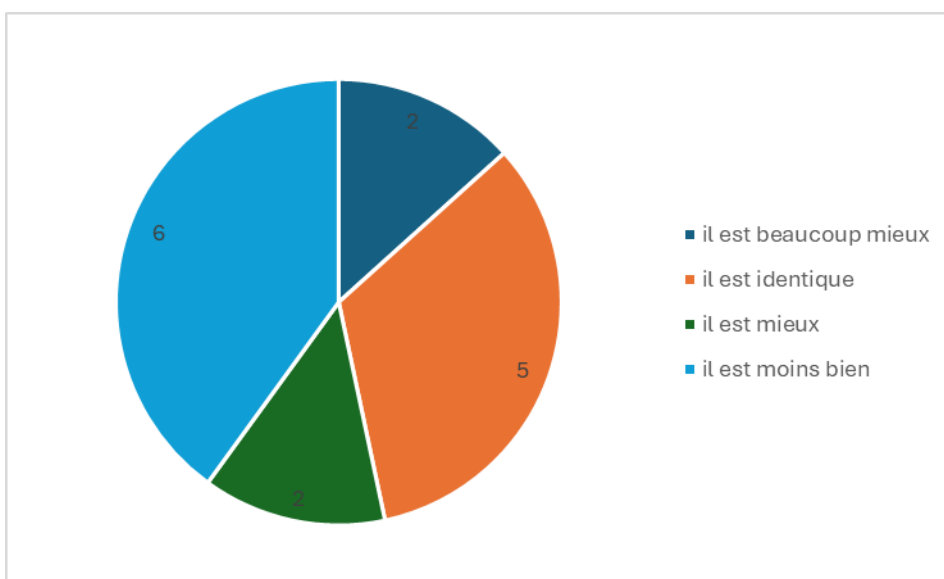
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

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

Des effets indésirables (essentiellement des effets neuropsychologiques) ont été remontés par des patients et des familles auprès de l'association et via les réseaux sociaux.

Parmi les témoignages reçus des effets secondaires neuropsychologiques sont principalement mentionnés. Une personne a réduit la dose du traitement suite à des Insomnies et des sauts d'humeur. Une autre personne a modifié puis arrêté le traitement après 18 mois à cause de différents inconvénients : prise de poids, douleur articulaire, vertiges, insomnie, chute de cheveux.

Quel est l'effet de Kaftrio®/Kalydeco sur le comportement (humeur, rapport avec l'entourage...) ?



« A 2/3 ans, le caractère se dessine, donc compliqué de faire le lien avec le médicament. Néanmoins, les 3 premiers mois de démarrage de traitement, beaucoup de sautes d'humeur »

« Effets secondaires émotionnels très importants. »

« je suis beaucoup plus sensible, parfois un peu déprimée »

« Meilleur moral et beaucoup plus de confiance en l'avenir »

« Quelques troubles du comportement. »

"Sautes d'humeur, irritable"

« Trouble de l'humeur, anxiété, nervosité, stress. »

Depuis la mise à disposition du traitement, Vaincre la Mucoviscidose finance des études pour observer et évaluer en vraie vie l'impact du Kaftrio/Kalydeco sur les patients. Le Pr. Isabelle Sermet-Gaudelus (Paris Necker- INSERM) a récemment publié un article (Sermet et al. Lancet. 2024 Jun 28. Behavioural and sleep issues after initiation of elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor in preschool-age children with cystic fibrosis) dans la revue Lancet relatant les premiers résultats de l'étude observationnelle concernant les enfants âgés de 2 à 5 ans ayant bénéficié pendant 3 mois de Kaftrio/Kalydeco. Sur près de 200 enfants, il a été observé que le Kaftrio a un effet bénéfique. Cependant, il est aussi indiqué que près de 50% des patients présentaient des troubles du comportement ou du sommeil pendant le premier mois de traitement.

Sans qu'il n'ait été démontré à ce stade un lien direct entre le principe actif du médicament et la manifestation de troubles anxio-dépressifs, il a été rapporté plusieurs cas d'arrêt du traitement (concernant notamment des enfants de plus de 6 ans) en raison de ces manifestations. Cela a même conduit récemment le laboratoire à modifier le RCP de Kaftrio pour tenir compte de la survenue possible de tels effets indésirables. La question des effets de Kaftrio® sur l'encéphale des enfants devrait être particulièrement observée étant donné que le gène CTFR y est exprimé. D'ailleurs, lorsque de tels troubles surviennent chez l'enfant sous Kaftrio, l'équipe médicale est amenée à suspendre, modifier la posologie et ce de manière empirique. Une observation fine du dosage sérique en lien avec ces troubles pourrait être opportune.

Il convient d'être vigilant sur la survenue d'effets indésirables notamment sur le plan neuropsychologique, particulièrement s'agissant de très jeunes enfants, dès lors que des troubles de l'humeur sont signalés par les patients et leurs familles. Pour ces raisons, il semble primordial que le laboratoire collecte et transmette régulièrement des données sur tous les aspects et particulièrement des données cliniques incluant les aspects psychologiques

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 ?

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)

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 :

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

l'absence de traitement approprié disponible.

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

l'impossibilité de différer le traitement.

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



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

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 ?

Argument 1 :

Argument 2 :

Argument 3 :

Argument 4 :

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

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



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

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment² sur deux points :

l'apport d'un changement substantiel en matière d'efficacité y compris sur la qualité de vie, de tolérance, de praticité ou de commodité d'emploi ou de parcours de soins ;

la couverture d'un besoin médical non ou insuffisamment couvert (ex. : usage adapté pour les enfants).

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 théra-

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

peutique – 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

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 ?

Type d'information 1 :

Type d'information 2 :

Type d'information 3 :

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. ?)

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données



La soumission d'un « protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données » (PUT-RD) est une obligation légale pour le laboratoire pharmaceutique qui soumet une demande d'accès précoce. Ces données d'utilisation vont renforcer les connaissances sur le médicament en pratique clinique habituelle.

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.

³ 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 de son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

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

Oui

Non

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

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 ?

Audrey Chansard, Présidente (president@vaincrelamuco.org) et Thierry Nouvel Directeur général (tnouvel@vaincrelamuco.org)

Pour quelles raisons ?

La mise sur le marché de Kaftrio en association avec Kalydeco pour les patients ayant au moins une mutation F508del a été une révolution thérapeutique sans pour autant que l’on puisse parler de guérison malheureusement. L’extension d’indication aux patients non porteurs de cette mutation est le fruit d’une intense mobilisation de l’association et de la communauté scientifique française et des pouvoirs publics français. Alors qu’initialement l’on pensait que ce traitement était destiné qu’à 82% des patients (hors patients greffés pulmonaires), on estime à présent que 90% des patients vont à terme être traité par ce médicament. L’initiative française connue au plan international sous le nom de « French compassionate program » a été la source d’inspiration dans d’autres pays grâce aux études publiées par le Pr. Pierre Burgel et financées par Vaincre la Mucoviscidose. On peut également affirmer que sans ce programme, l’autorisation de mise sur le marché objet de la présente contribution aurait été moins large et se serait limitée aux mutations ayant fait l’objet d’essais cliniques. Sans ce programme, l’EMA n’aurait sans doute pas accepté de prendre en compte les études *in vitro* du laboratoire pharmaceutique, l’agence ayant d’ailleurs précédemment refusé de le faire dans le cadre de précédentes autorisations. Pour ces raisons, il nous semble important d’être auditionnés, afin de bien mesurer l’impact favorable de cette extension d’AMM pour les patients français mais aussi européens, à l’heure où les modalités d’évaluation des médicaments au niveau européen évoluent dans le cadre du Health Technology Assessment et qui font évoluer la place des autorités sanitaires nationales dans ces processus d’évaluation.

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 entendu pas limitative.

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie chez les patients et leur famille sont les contraintes liées aux traitements quotidiens qui impactent fortement la qualité de vie, la vie familiale, et la vie professionnelle. Quand l'état de santé se dégrade, le pronostic vital est en jeu et dans certains cas, la seule alternative thérapeutique est la transplantation pulmonaire. Kafrio®/Kalydeco® répond aux besoins et aux attentes des patients en améliorant très nettement, non seulement les marqueurs biologiques et cliniques mais aussi la perception par les patients mêmes de leur état de santé et de leur qualité de vie. Ces derniers aspects sont difficilement rapportés par les essais cliniques.

Le retour d'expérience des patients et des parents de patients ayant pu bénéficier du traitement Kafrio®/Kalydeco® est globalement très positif en termes de bénéfices sur l'état de santé et la qualité de vie. Le traitement est, dans l'ensemble, assez bien toléré.

Dans le ressenti des patients et/ou des parents, L'état de santé s'est globalement amélioré . Pour ce qui concerne les aspects symptomatiques de la maladie (capacité respiratoire, troubles digestifs, épisodes infectieux...etc.), les patients parlent de stabilisation ou d'amélioration. Les améliorations ont pour conséquence une diminution, pour la plupart des patients, des cures d'antibiotiques et des hospitalisations.

De plus, il convient d'être particulièrement vigilant sur la survenue d'effets indésirables sur le plan psychologique notamment des troubles de l'humeur signalés par les patients eux-mêmes ou par les parents.

Dans un contexte d'accès à une information globalisée, les parents et les proches ont connaissance des meilleures thérapies auxquelles ils peuvent aspirer, mais aussi du fait que l'accès à l'innovation n'est pas assuré dans tous les pays. Ainsi, la possibilité d'accès à Kafrio®/Kalydeco® est considérée comme un gain de chances et une promesse d'avenir meilleur par rapport aux patients qui ne bénéficient pas des modulateurs de CFTR. Débuté au plus tôt, pour certains patients il représente la seule chance d'éviter une transplantation pulmonaire.

Il a été démontré que la prise de modulateurs de façon précoce et dès le plus jeune âge permettait d'éviter que la maladie progresse et occasionne des dégâts irréversibles, notamment sur la fonction respiratoire. La publication canadienne de Stanojevic, et al. (Projecting the impact of delayed access to elxacaftor/tezacaftor/ivacaftor for people with Cystic Fibrosis, Journal of Cystic Fibrosis) montre que l'accès retardé à Kafrio aurait un impact négatif sur la fonction pulmonaire et sur la survie des patients.

Chez les jeunes patients, on ne s'attend pas à une amélioration sensible de la fonction respiratoire, mais plutôt l'évitement de son déclin et une diminution corrélative des infections.

L'initiation du traitement chez des enfants de plus en plus jeunes permet d'espérer qu'ils ne connaîtront pas la même évolution de la maladie que les patients qui sont adultes aujourd'hui. L'âge médian au décès est aujourd'hui de 38.4 ans (registre français de la mucoviscidose, données 2023). Pour les patients adultes, la prise de Kaftrio/Kalydeco représente un espoir pour préserver leur capital santé, en limitant l'évolution de la maladie ainsi que l'apparition de pathologies liées au défaut de CFTR et au vieillissement.

Selon les données 2023 du Registre, 960 patients sont susceptibles de bénéficier de cette nouvelle extension d'indication de Kaftrio/Kalydeco et parmi ces patients, 521 ne sont pas traités par modulateurs (ceux âgés d'au moins 6 ans peuvent, grâce au programme compassionnel, bénéficier de Kaftrio/Kalydeco).

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 ?

Pour compléter le présent formulaire, Vaincre la Mucoviscidose s'est basée sur sa connaissance de la maladie du fait de son expérience dans les domaines du soin, de la recherche et de la qualité de vie des patients.

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

Concernant l'expérience du traitement de Kaftrio®/Kalydeco® les témoignages des patients sous Kaftrio ont été collectés via le groupe facebook « Mon expérience Kaftrio (Trikafta) ».

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

Des salariés de l'association.

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

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

3 jours

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

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

