



LES FICHES PRATIQUES de l'Alliance



LES CONTRIBUTIONS ASSOCIATIVES À L'ÉVALUATION DES MÉDICAMENTS PAR LA HAS

Pourquoi contribuer à l'évaluation des médicaments ?

L'impact des contributions associatives sur l'évaluation est particulièrement important pour les maladies rares.

La Haute autorité de santé (HAS) est responsable de l'évaluation des médicaments et dispositifs médicaux en vue de leur inscription au remboursement et de la fixation de leur prix.

L'engagement des associations de malades a pour objectif d'éclairer les décisions des commissions (notamment la Commission de la transparence) de la HAS sur la base d'éléments concrets sur le vécu de la maladie par les patients, leur expérience avec les traitements existants, leurs parcours de soin, et les critères de jugement les plus pertinents à leurs yeux.

Les experts qui siègent dans ces commissions ont accès aux informations médicales sur la maladie et aux données scientifiques fournies par le laboratoire. Dans le cas des maladies rares, la maladie est peu connue des experts qui ignorent de fait son impact sur la vie quotidienne des malades, les difficultés du parcours de soins et les bénéfices que pourraient apporter les nouveaux traitements sur leur qualité de vie. Les contributions associatives permettent d'amener la vision du malade au sein de ces commissions.

COMMENT CONTRIBUER ?

La HAS publie régulièrement sur son site un tableau contenant les informations sur les évaluations de médicaments à venir. Elle informe également en direct ou via l'Alliance maladies rares les associations susceptibles d'être concernées par le traitement évalué.

Toute association de patients ou d'usagers, agréée ou non, peut soumettre une contribution. Une seule contribution par association est acceptée.

Le recueil de la contribution associative se fait au moyen d'un questionnaire dédié.

Il existe **deux formats** de questionnaires selon le type d'évaluation (inscription initiale/renouvellement d'inscription/réévaluation, ou accès précoce*).

Le questionnaire comporte un **volet administratif** (informations générales sur l'association, sur son financement et autres liens d'intérêts) et **différents items** :

>> la méthode utilisée pour remplir le questionnaire (enquêtes, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, nombre de patients...);

>> l'impact de la maladie ou de l'état de santé concernés sur le patient, sa qualité de vie ou son entourage ;

>> l'expérience avec les thérapeutiques actuelles (autres que le produit évalué) ;

>> l'expérience avec le produit évalué (si les patients ont une expérience d'utilisation ou si l'association a connaissance des résultats des essais cliniques relatifs au produit) ;

>> toute information supplémentaire utile pour la HAS dans son évaluation (par exemple problèmes éthiques ou sociaux).

** Dans le cadre de l'accès précoce, les associations peuvent demander à être **auditionnées** par la Commission de la transparence pour présenter leur contribution et demander à la HAS d'avoir accès au **PUT-RD** (protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données) pour donner leur avis sur ce document.*

! ATTENTION ! aux délais de rédaction des contributions qui sont très courts !
En général, 45 jours pour les contributions « classiques »
et 30 jours pour les accès précoces.

QUELQUES CONSEILS PRATIQUES

###

- #1 Les représentants des usagers à la Commission de la transparence ont très peu de temps pour présenter les contributions associatives => privilégier des **contributions les plus synthétiques possibles** en allant droit à l'essentiel.
- #2 Il y a de nombreuses questions dans les questionnaires mais toutes ne sont pas applicables à chaque maladie => il n'y a aucune obligation à remplir toutes les cases.
- #3 Ce qui est important c'est d'expliquer **l'impact de la maladie sur la qualité de vie** du malade et des aidants, ainsi que l'impact économique de la maladie.
- #4 Toutes les informations sur le **parcours de soins** sont essentielles (par exemple errance diagnostique, éloignement des lieux de soins, etc.).
- #5 Il est également important, lorsque cela est possible, de rapporter l'expérience des malades avec le traitement évalué. En cas de **comparaison avec d'autres traitements** existants, bien expliquer leurs effets indésirables et leur répercussion sur la vie quotidienne.
- #6 Il est important d'utiliser une **méthodologie** la plus scientifique et la plus rigoureuse possible pour recueillir les informations destinées à remplir le questionnaire : privilégier des enquêtes menées auprès des malades, même s'il y a peu de répondants. Ce sera plus impactant

Le pôle d'expertise médicament de l'Alliance maladies rares peut vous aider à construire vos contributions associatives.

N'HÉSITEZ PAS À NOUS CONTACTER !
=> hthiollet@maladiesrares.org

