



## 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 France.

La Commission de la transparence de la Haute autorité de santé (HAS) a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du **remboursement** sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis 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.

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 et/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 unique** quel que soit le type de demande (remboursement ou accès précoce).

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

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

**>> l'expérience avec les traitements actuellement disponibles** (autres que le médicament évalué) ;

**>> l'expérience avec le médicament évalué** (si les patients ont une expérience d'utilisation ou si l'association a connaissance des résultats des essais cliniques relatifs au produit), ou à défaut les attentes et craintes vis-à-vis du médicament évalué ;

**>> toute information supplémentaire ou remarques utiles pour la HAS dans son évaluation** (par exemple problèmes éthiques ou sociaux) ;

**>> une synthèse de la contribution.**

**>> la méthode utilisée pour remplir les différentes parties du questionnaire (enquêtes, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs, nombre de patients...).**

*\* Dans le cadre de l'accès précoce, les associations peuvent demander à être **auditionnées** par la Commission de la transparence pour présenter leur contribution.*

*Dans le cadre de l'accès précoce, les associations peuvent aussi 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 (données recueillies, méthode de recueil)..*

**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 qu'un témoignage isolé.

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

**N'HÉSITEZ PAS À NOUS CONTACTER !**

**=> [ihuetsalvetat@maladiesrares.org](mailto:ihuetsalvetat@maladiesrares.org)**

