



« Contribution des associations de patients à l'évaluation des médicaments par la HAS »

Fiche InterAsso – Universités d'automne 2022

Cette fiche est un compte rendu synthétique de l'atelier d'échange d'expériences et de pratiques « Contribution des associations de patients à l'évaluation des médicaments par la HAS » qui s'est tenu le 12 octobre 2022, lors des Universités d'automne organisées par l'Alliance.

Au cours du cycle de vie du médicament, la Haute autorité de santé (HAS) est responsable de l'évaluation des médicaments (et des dispositifs médicaux):

- En vue d'une autorisation d'accès précoce. L'accès précoce permet la prise en charge dérogatoire et temporaire d'un médicament présumé innovant, dans une (ou plusieurs) indication(s) spécifique(s) dans l'attente d'une prise en charge pérenne. La demande d'autorisation d'accès précoce se fait exclusivement à l'initiative du laboratoire dans deux cas de figure : (1) avant la demande d'Autorisation de mise sur le marché (AMM), (2) après obtention de l'AMM et avant la demande de remboursement.
- 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.



BONNES PRATIQUES

- Toute association de patients ou d'usagers, agréée ou non, peut soumettre une contribution. Une seule contribution par association est acceptée.
- La HAS publie régulièrement sur son site internet un tableau contenant les informations sur les évaluations de médicaments à venir. Elle informe également en direct ou via l'Alliance les associations susceptibles d'être concernées par le traitement évalué.
- Si la Haute autorité de santé (HAS) vous sollicite pour contribuer à l'évaluation d'un médicament ou d'un dispositif médical concernant votre association, dans le cadre d'une demande d'accès précoce ou d'inscription au remboursement, n'ayez pas peur d'accepter; ce n'est pas difficile et c'est important !
- Apporter la vision du malade, son vécu de la maladie est particulièrement important dans le cadre des maladies rares. En effet, les personnes en charge de l'évaluation ne disposent que des données d'études cliniques et d'informations théoriques sur la maladie. Elles ne connaissent pas le quotidien d'un malade atteint de maladie rare. En contribuant, vous apportez des informations qui pourront être clés dans l'avis que rendra la HAS.
- Si vous avez des questions, n'hésitez pas à contacter le Service Engagement des Usagers de la HAS (Marc Guerrier), ils sont disponibles et bienveillants: **contact.contribution@has-sante.fr**. Vous pouvez aussi solliciter les pharmaciens bénévoles de l'Alliance qui pourront répondre à vos questions et vous aider à construire la contribution: **medicament@maladiesrares.org**
- Il est important de participer à ces évaluations même si la contribution est imparfaite ; il n'y a aucune obligation à remplir toutes les rubriques du questionnaire. Cela peut aussi être l'occasion d'identifier ou de (ré)-rentrer en contact avec des familles (double intérêt : apporter son expertise à la HAS + identifier des familles).
- Les délais de rédaction des contributions étant courts (30 à 45 jours en général), l'anticipation est clé: essayez de vous tenir au courant des nouveaux traitements ou dispositifs pour lesquels des essais cliniques débutent/sont en cours, ou pour lesquels il est prévu une demande d'autorisation de mise sur le marché ou une évaluation par la HAS. Vous pouvez interroger les médecins des centres de référence ou consulter le site internet de votre filière. Si vous n'avez pas anticipé, essayez quand même de contribuer, c'est important ! Il est dans certains cas possible de demander un délai au Service Engagement des Usagers, directement ou via l'Alliance.
- 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. Les éléments clés à recueillir sont :
 - l'impact de la maladie sur la qualité de vie des malades et de l'entourage (famille, aidants),
 - les difficultés du parcours de soins (errance diagnostique, éloignement des centres de soins...)
 - l'expérience avec les traitements actuels (avantages/limites/contraintes), ainsi que lorsqu'elle est disponible, l'expérience avec le traitement évalué ou les attentes/craintes vis-à-vis du nouveau traitement
 - l'impact économique de la maladie
- Pour recueillir l'expérience des malades/familles, privilégiez les enquêtes réalisées à l'aide d'un questionnaire, ce sera plus impactant. D'autres voies sont également possibles : constituer un petit groupe de patients concernés, organiser une table ronde, recueillir des témoignages via les réseaux sociaux ou par téléphone... Vous pouvez éventuellement faire relire le questionnaire par le centre de référence et/ou vous faire accompagner par les pharmaciens bénévoles de l'Alliance pour la construction du questionnaire.
- Pour que la contribution de l'association soit bien prise en compte, veillez à l'indépendance vis-à-vis des laboratoires dans sa réalisation.



RESSOURCES

Les fiches pratiques de l'Alliance

[Les contributions associatives à l'évaluation des médicaments par la HAS](#)

[Les dispositifs d'accès précoce et d'accès compulsif aux médicaments](#)

[Le développement du médicament](#)

[Le parcours du médicament](#)