

Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD)

Accès précoce – ALHEMO (concizumab)

La demande	
Spécialité	ALHEMO 60 mg/1,5 mL (40 mg/mL), solution injectable en stylo prérempli ALHEMO 150 mg/1,5 mL (100 mg/mL), solution injectable en stylo prérempli
DCI	concizumab
Indication	Prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients à partir de l'âge de 12 ans : - atteints d'hémophilie A ayant développé des inhibiteurs anti-facteur VIII, en dernier recours - atteints d'hémophilie B ayant développé des inhibiteurs anti-facteur IX, en dernier recours
Date d'octroi	14/09/2023 <i>La mise à disposition de ce médicament sera effective dans un délai maximal de 2 mois à compter de cette date.</i>
Périodicité des rapports de synthèse	9 mois – un gel de la base jusqu'à un mois avant cette échéance est toléré. Le prochain rapport de synthèse devra également être déposé dans le dossier de renouvellement d'accès précoce. Pour chaque renouvellement ultérieur, le rapport de synthèse déposé devra être le plus récent possible, en tenant compte du dépôt du dossier 3 mois avant la fin de l'autorisation et du gel de base toléré de un mois avant le dépôt du dossier.
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire ou CRO	ap-concizumab@euraxipharma.fr ; téléphone : 0800 005 751 ; Fax : 02 46 99 03 70

CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, le cas échéant	CRPV d'Angers
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	dprfrance@novonordisk.com

Dernière date de mise à jour : 27/10/2023

Retrouvez toutes les informations sur ce médicament en accès précoce sur les sites internet de [l'ANSM](#) et de la [HAS](#).

Sommaire

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur	4
Le médicament	6
Calendrier des visites	8
Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients	10
Annexes	11
Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données	11
Annexe 2. Rôle des différents acteurs	74
Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en accès précoce :	78
Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières	91

Informations à destination des prescripteurs et des pharmacies à usage intérieur

Vous souhaitez prescrire ou dispenser un médicament au potentiel innovant disponible au titre d'une autorisation d'accès précoce et d'une prise en charge dérogatoire par l'Assurance maladie.

Cette autorisation vous engage à :



Participer à cette démarche, c'est permettre au patient de bénéficier du traitement dans les meilleures conditions et contribuer au développement des connaissances scientifiques.

* Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire, délivrée pour une durée d'un an renouvelable. Elle peut être retirée ou suspendue en fonction des nouvelles données disponibles. La poursuite du traitement est toutefois possible pour les patients en cours de traitement.

Le 14/09/2023, la Haute Autorité de santé (HAS) a délivré une autorisation d'accès précoce, après avis de l'Agence Nationale de Sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) concernant le rapport bénéfice/risque présumé, pour le médicament 60 mg/1,5 mL (40 mg/mL) et 150 mg/1,5 mL (100 mg/mL), solution injectable en stylo prérempli dans l'indication : ALHEMO est indiqué en prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients à partir de l'âge de 12 ans atteints :
- d'hémophilie A ayant développé des inhibiteurs anti-facteur VIII, en dernier recours ;
- d'hémophilie B ayant développé des inhibiteurs anti-facteur IX, en dernier recours.

Ce médicament ne dispose pas encore d'une Autorisation de Mise sur le Marché (AMM).

Cette décision est susceptible d'évoluer (maintien, modification ou retrait) en fonction des nouvelles données. En cas de retrait ou de suspension, un dispositif de continuité de prise en charge des patients en cours de traitement est prévu.

Ce dispositif remplace l'ancien système des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) de cohorte et de prise en charge temporaire post-AMM (PECT). Pour plus d'informations sur le dispositif d'accès précoce, veuillez consulter [le site internet de la HAS](#).

L'accès précoce est une procédure permettant l'utilisation, à titre exceptionnel, d'un médicament dans une indication précise soit avant la délivrance d'une AMM, soit dans l'attente de sa prise en charge par l'Assurance maladie au titre de son AMM, dès lors que toutes les conditions suivantes sont remplies :

- la maladie est grave, rare ou invalidante ;
- il n'existe pas de traitement approprié ;
- l'efficacité et la sécurité de ce médicament, pour l'indication considérée, sont fortement présumées au vu des résultats des essais thérapeutiques ;
- le médicament est présumé innovant ;
- la mise en œuvre du traitement ne peut être différée.

Cette autorisation d'accès précoce est subordonnée au respect d'un protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil des données (PUT-RD), présent document, dont les objectifs sont les suivants :

- Apporter aux prescripteurs et aux patients toute l'information pertinente sur le médicament et son utilisation. À cette fin vous trouverez dans ce document :
 - une description du médicament ainsi que des conditions d'utilisation et de prescription complétée par le RCP du médicament.
 - des notes d'information que le prescripteur doit remettre au patient avant toute prescription du médicament (voir [annexe III](#)) ;
- Organiser la surveillance des patients notamment via le recueil des effets indésirables/situations particulières auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I
- Recueillir également des données relatives à l'utilisation du médicament en vie réelle afin d'évaluer en continu les critères permettant le maintien de l'autorisation d'accès précoce sus-visée. L'analyse de ces données permettra également, à termes, de contribuer à l'évaluation de ce médicament par la commission de la transparence en vue de sa prise en charge pérenne par l'Assurance maladie. Les prescripteurs et les pharmaciens sont tenus de participer au recueil de ces informations et de les transmettre aux laboratoires. **Une convention entre le titulaire et l'établissement peut définir les modalités de dédommagement de l'établissement pour le temps consacré à la collecte de données¹.**

¹ Conformément au II de l'article R5121-70 du Code de la Santé Publique

Le médicament

Cette section résume les principales caractéristiques du médicament et ses conditions d'utilisation. Outre ces informations, avant que soit prescrit ou dispensé un médicament dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, il est impératif de se référer au RCP disponible sur les sites de la HAS et de l'ANSM pour l'utilisation du/des médicaments.

Spécialités concernées

ALHEMO 60 mg/1,5 mL (40 mg/mL), solution injectable en stylo prérempli

ALHEMO 150 mg/1,5 mL (100 mg/mL), solution injectable en stylo prérempli

Caractéristiques du médicament

Concizumab est un anticorps anti-inhibiteur de la voie du facteur tissulaire (tissue factor pathway inhibitor, TFPI). Le TFPI est un inhibiteur du facteur Xa (FXa). La liaison de concizumab au TFPI empêche l'inhibition du FXa par le TFPI. L'activité accrue du FXa prolonge la phase d'initiation de la coagulation et permet la génération d'une quantité suffisante de thrombine pour une hémostase efficace. Concizumab agit indépendamment du FVIII et du FIX et son effet n'est pas impacté par la présence d'anticorps inhibiteurs dirigés contre le FVIII ou le FIX.

Concizumab n'a pas de relation structurelle ni d'homologie de séquence avec le FVIII ou le FIX et, par conséquent, il n'induit pas ni ne favorise le développement d'inhibiteurs dirigés contre le FVIII ou le FIX.

Indication

ALHEMO est indiqué en prophylaxie des épisodes hémorragiques chez les patients à partir de l'âge de 12 ans :

- atteints d'hémophilie A ayant développé des inhibiteurs anti-facteur VIII, en dernier recours
- atteints d'hémophilie B ayant développé des inhibiteurs anti-facteur IX, en dernier recours.

Posologie

Le traitement doit être initié sous la supervision d'un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie et/ou des troubles de l'hémostase. Le traitement doit être initié en l'absence d'hémorragie.

Posologie

Le schéma d'administration recommandé est :

- Jour 1 : une dose de charge de 1 mg/kg, en une seule fois.
- Jour 2 et jusqu'à l'établissement de la dose d'entretien individuelle (voir ci-dessous) : 0,20 mg/kg une fois par jour.

- 4 semaines après l'initiation du traitement : mesure de la concentration plasmatique de concizumab avant l'administration de la dose suivante. Cette mesure doit être réalisée à l'aide d'un test in vitro validé.
- Lorsque le résultat de la mesure de la concentration plasmatique de concizumab est disponible : la dose d'entretien individuelle est établie une fois sur la base de la concentration plasmatique de concizumab, comme indiqué ci-dessous dans le Tableau 1.

Tableau 1 : Dose d'entretien individuelle basée sur la concentration plasmatique de concizumab

Concentration plasmatique de concizumab	Dose d'ALHEMO administrée une fois par jour
< 200 ng/mL	0,25 mg/kg
200 – 4 000 ng/mL	0,20 mg/kg
> 4 000 ng/mL	0,15 mg/kg

La dose d'entretien individuelle doit être établie le plus tôt possible (une fois que le résultat de la mesure de la concentration plasmatique de concizumab est disponible), et recommandée au plus tard 8 semaines après l'initiation du traitement.

Des mesures supplémentaires de la concentration plasmatique de concizumab peuvent être réalisées après 8 semaines avec la même dose d'entretien en fonction de l'état de santé du patient. Par exemple, cela doit être envisagé si un patient présente une fréquence accrue de saignements ou acquiert une comorbidité, ce qui pourrait affecter l'hémostase ou le métabolisme/l'excrétion des médicaments.

Conditions de prescription et de délivrance

En complément des conditions de prescription et de délivrance, se rapporter à [l'annexe II](#) pour plus d'informations sur les mentions obligatoires à porter sur l'ordonnance.

- Médicament soumis à prescription hospitalière.
- Prescription réservée aux médecins expérimentés dans le traitement de l'hémophilie et/ou des troubles de l'hémostase.
- Médicament nécessitant une surveillance particulière pendant le traitement.

Calendrier des visites

	Demande d'accès au traitement	Première administration	Suivi du traitement M1, M3, M6, M9, M12, M18 M24 et/ou arrêt
Remise de la note d'information destinée au patient par le médecin prescripteur	X		
Collecte de données sur les caractéristiques des patients			
Déclaration de conformité médicale aux critères d'éligibilité	X	X	
Maladie (diagnostic et état du patient, traitements antérieurs, comorbidités)	X		
Comorbidités	X	X	X
Collecte de données sur le traitement			
Posologie		X	X
Dosage (ELISA)			A M1, en cas de chirurgie programmée ou d'épisodes hémorragiques*
Collecte de données sur les conditions d'utilisation			
Posologie et traitements associés	X	X	X
Interruption de traitement			X
Collecte de données d'efficacité			
Evaluation clinique de la maladie			

Nombre d'épisodes hémorragiques depuis la dernière visite		X	X
Evaluation de la qualité de vie			
Qualité de vie de l'hémophilie pour patient ≥ 17 ans : Haem-A-QoL		X	X
Qualité de vie de l'hémophilie pour patient de 13 à < 17 ans : Haemo-QoL		X	X
Collecte de données de tolérance/situations particulières			
Suivi des effets indésirables/situations particulières		X	X

* A la discrétion du prescripteur. Se référer à la rubrique 4.2 du RCP pour la prise en charge des hémorragies intercurrentes et dans un cadre péri-opératoire,

Modalités pratiques de traitement et de suivi des patients



Annexes

Annexe 1. Fiches de suivi médical et de collecte de données

- [Fiche de demande d'accès au traitement](#)
- Fiches de suivi de traitement : [première administration](#) et [visites suivantes](#)
- [Fiche d'arrêt de traitement](#)
- Formulaire de [déclaration d'effet indésirable](#) et/ou de [signalement de situations particulières](#)
- [Questionnaires de qualité de vie](#)

Lorsque le prescripteur souhaite instaurer un traitement pour un patient donné, il doit :

- prendre connaissance du PUT-RD et du RCP téléchargeables sous format PDF directement sur le site internet dédié à la gestion de l'Accès Précoce
- vérifier l'indication de l'Accès Précoce,
- vérifier l'absence de contre-indication en se référant au RCP,
- compléter la fiche de demande d'accès au traitement, pour cela il est nécessaire de :

1. Se connecter sur le site internet dédié à la gestion de l'Accès Précoce (**www.ap-concizumab.fr**) pour créer un compte :

- Cliquer sur "Je souhaite obtenir mes codes d'accès" pour créer le compte
- Lors de la création de ce compte, l'adresse internet du pharmacien responsable de l'Accès Précoce dans l'établissement de santé doit être renseignée.
- Le pharmacien reçoit un courriel afin de créer à son tour son compte.

Une fois les comptes du médecin prescripteur et du pharmacien créés :

2. Le médecin prescripteur complète la fiche de demande d'accès au traitement en se connectant à la plateforme électronique en utilisant soit les codes d'accès réceptionnés antérieurement soit en utilisant ses identifiants Pasrel (Plage) fournis par l'ATIH (nécessite la création préalable d'un compte sur <https://plage.atih.sante.fr/#/anonyme/creation-compte>)

3. Une alerte par courriel sera alors transmise au pharmacien de l'établissement pour validation électronique de la fiche de demande d'accès au traitement en se connectant à la plateforme électronique. Les modalités de connexion se feront soit à l'aide des codes d'accès réceptionnés au préalable soit en utilisant ses identifiants Pasrel (Plage) fournis par l'ATIH .

4. Le pharmacien et le médecin prescripteur ont accès à l'ensemble des fiches renseignées et peuvent saisir les données de leur patient.

Un guide simplifié décrivant le fonctionnement de la plateforme ainsi que les consignes de navigation/saisie sera mis à disposition des utilisateurs sur la page d'accueil.

La CRO pourra être amenée à vous recontacter afin de s'assurer de la complétude des fiches de demande d'accès, d'initiation, de suivi, d'arrêt de traitement.

Un questionnaire de qualité de vie, Haem-A-QoL ou Haemo-QoL (selon l'âge du patient - disponible à l'annexe 1), sera à remplir avant la première administration du médicament, puis tous les 3 mois.

La collecte de ces données sera réalisée via un ePRO (=ePatient Reported Outcomes), solution à privilégier, mais le « format papier » peut également être envoyé par e-mail à la CRO (pour plus de détails se référer à l'Annexe 1 - Questionnaire de qualité de vie).

En cas d'indisponibilité de la plateforme électronique uniquement, les fiches papiers pourront être transmises à Euraxi Pharma par courriel ou par télécopie.

Fiche de demande d'accès au traitement

Fiche d'initiation de traitement

(À remplir par le prescripteur/pharmacien)

Date de la demande : __/__/____

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

Date de naissance : __/__/____ (MM/AAAA) Poids (kg) : |_|_|_|

Sexe : M ☐ F ☐

L'accès précoce ne remplace pas l'essai clinique, le prescripteur doit vérifier que le patient n'est pas éligible à un essai clinique dont les inclusions sont ouvertes en France. Pour plus d'information consulter <https://www.clinicaltrialsregister.eu/> ou <https://clinicaltrials.gov/>.

Possibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours dans l'indication qui fait l'objet de l'accès précoce ? ☐ Oui ☐ Non

Si oui, orientez le patient vers l'essai clinique.

Le patient a-t-il déjà débuté le traitement dans le cadre ☐ d'un accès compassionnel ou dans une autre situation ? ☐ Oui ☐ Non

Maladie

Diagnostic et état du patient

☐ Patient hémophile A ayant développé des inhibiteurs anti-FVIII, nécessitant un traitement en dernier recours

☐ Patient hémophile B ayant développé des inhibiteurs anti-FIX, nécessitant un traitement en dernier recours

Age au diagnostic de la maladie : |_|_| ans ou |_|_| mois en cas de diagnostic avant l'âge de deux ans du patient

Degré de sévérité de l'hémophilie : ☐ Sévère (<1%) ☐ Modérée (1 - 5%) ☐ Mineure (> 5%)

Date de découverte des inhibiteurs : __/__/____

Titre maximum historique des inhibiteurs : ____ UB (Unité Bethesda)

Résultat du dernier dosage des inhibiteurs réalisé : ____ UB (Unité Bethesda) Date : __/__/____

Induction de tolérance immune :

Prévue ☐ Non ☐ Oui

En cours ☐ Non ☐ Oui : Date de début : __/__/____; Traitement FVIII ☐ / FIX ☐
Posologie |_|_|_| UI/kg, nombre d'injections / semaine

Terminée ☐ Non ☐ Oui : Date de fin : __/__/____; Traitement FVIII ☐ / FIX ☐

Echec ☐ Non ☐ Oui

Antécédents :

Réaction anaphylactique au facteur IX ☐ Non ☐ Oui, Date : __/__/____

Réaction anaphylactique au facteur VIII ☐ Non ☐ Oui, Date : __/__/____

Insuffisance rénale ☐ Non ☐ Oui

Cardio-vasculaires : ☐ Non ☐ Oui, préciser _____

Thromboemboliques artériels : ☐ Non ☐ Oui, préciser _____

Thromboemboliques veineux : ☐ Non ☐ Oui, préciser _____

Absence d'antécédents ☐ Non ☐ Oui

Antécédents inconnus ☐ Non ☐ Oui

Profil hémorragique

Nombre de saignements traités durant les dernières 24 semaines : | _ | _ |

Nombre d'hémarthroses traitées durant les dernières 24 semaines : | _ | _ |

Nombre total d'hémarthroses traitées | _ | _ |

Nombre d'hémarthroses sur les articulations majeures (genou, coude, cheville, hanche, épaule)
| _ | _ |

Nombre d'articulation(s) cible(s)*: | _ | _ |, Si 1 ou plus, localisation(s) :

☐ Genou ☐ coude ☐ hanche ☐ Epaule ☐ Cheville ☐ Autre(s), préciser :

**articulation cible = au moins 3 saignements spontanés sur la même articulation sur les 6 derniers mois*

Traitement pour l'hémophilie

Traitement pour l'hémophilie par ordre chronologique depuis l'initiation (DCI)	Date début	Date de fin / Raison de l'arrêt	En prophylaxie (P) ou à la demande (D)	Posologie
☐ Concentré de facteur Si oui, préciser: _____ ☐ Agent by-passant :	__/__/____ --	__/__/____ Raison de l'arrêt : _____	☐ P ☐ D	_____

Si oui, préciser : _____ ☐ Emicizumab ☐ Autre : préciser : _____					
☐ Concentré de facteur Si oui, préciser : _____ ☐ Agent by-passant : Si oui, préciser : _____ ☐ Emicizumab ☐ Autre : préciser : _____	_ _ / _ / _ _ _ _	_ _ / _ / _ _ _ _ Raison de l'arrêt : _____	☐ P ☐ D	_____	
☐ Concentré de facteur Si oui, préciser : _____ ☐ Agent by-passant : Si oui, préciser : _____ ☐ Emicizumab ☐ Autre : préciser : _____	_ _ / _ / _ _ _ _	_ _ / _ / _ _ _ _ Raison de l'arrêt : _____	☐ P ☐ D	_____	

Comorbidités

Hépatopathie	☐ Non ☐ Oui
Cancer	☐ Non ☐ Oui, si oui, préciser localisation _____ actif ☐ Non ☐ Oui traité ☐ Non ☐ Oui
Hypertension artérielle	☐ Non ☐ Oui
Tabac	☐ Non ☐ Oui
Surpoids / obésité	☐ Non ☐ Oui
Diabète	☐ Non ☐ Oui
Dyslipidémie	☐ Non ☐ Oui
Artériopathie	☐ Non ☐ Oui
Infection VIH,	☐ Non ☐ Oui
Infection VHB	☐ Non ☐ Oui

Infection VHC	☐ Non ☐ Oui
Autres comorbidités	☐ Non ☐ Oui, préciser : _____
Comorbidités inconnues	☐ Non ☐ Oui

Traitement par

Posologie et durée envisagée

Patients déjà traités par concizumab dans le cadre d'un accès compassionnel ?

Dose actuelle : ☐ 0.15 mg/kg/jour

☐ 0.20 mg/kg/jour

☐ 0.25 mg/kg/jour

Patient débutant le traitement en accès précoce (1^{ère} utilisation de concizumab en prophylaxie) :

☐ Dose de charge de 1 mg/kg puis 0.20 mg/kg/jour pendant 4 semaines, à adapter si nécessaire dès réception du résultat du dosage de concizumab effectué après 4 semaines de traitement

Traitements concomitants et/ou soins de support

Traitement (<i>DCI le cas échéant</i>)	Statut
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté

Concernant l'utilisation du médicament notamment les mises en garde spéciales, précautions d'emploi et contre-indications, veuillez-vous référer au RCP du médicament.

Engagement du prescripteur

Critères d'éligibilité

Pour être éligible à l'accès précoce, le patient doit remplir l'un des 2 des critères suivants :

- Patient à partir de 12 ans, hémophile A ayant développé des inhibiteurs anti-FVIII, et en situation de dernier recours
- Patient à partir de 12 ans, hémophile B ayant développé des inhibiteurs anti-FIX, et en situation de dernier recours

Critères de non-éligibilité

Le patient est non éligible à l'accès précoce s'il remplit l'un des critères ci-dessous :

- Hypersensibilité connue à la substance active du médicament ou à un des excipients
- Trouble de la coagulation héréditaire ou acquis connu autre que l'hémophilie congénitale.
- Antécédents de maladie thromboembolique, présence de signes cliniques ou traitement en cours d'une maladie thromboembolique, ou patient qui, de l'avis du prescripteur, est considéré à haut risque d'événements thromboemboliques.
- Traitement par emicizumab en cours
- Traitement par héparine en cours (sauf en cas de cathéter central veineux)
- Traitement par anti-vitamine-K en cours
- Traitement par anti-coagulants oraux en cours
- Traitement par anti-fibrinolytiques, sauf en usage local/topique en cours ITI en cours ou planifiée
- Age < 12 ans

Je certifie que le patient remplit les critères d'éligibilité ci-dessus :

☐ Oui ☐ Non

Si, au regard de ces critères, le patient n'est pas éligible à l'accès précoce, le prescripteur peut, par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire d'emblée une demande d'autorisation d'accès compassionnel auprès de l'ANSM en justifiant la demande.

J'ai remis les documents d'information au patient (disponibles en [annexe III](#)) et certifie que le patient a été informé de la collecte de ses données personnelles : ☐ Oui ☐ Non

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	Hôpital : _____
Hôpital : _____	☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé
☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé	Numéro FINESS : _____
Numéro FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone. _____
Tél : Numéro de téléphone. _____	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	

Date : / / signature du médecin :	Date : / / signature du pharmacien :
--	---

En tant qu'entreprise pharmaceutique qui développe, produit et vend des produits pharmaceutiques dans le monde entier, Novo Nordisk, Responsable de Traitement, recueille diverses données personnelles. Nous prenons la confidentialité et la sécurité des données personnelles au sérieux et nous nous engageons à respecter toutes les lois applicables en matière de protection des données personnelles.

Les données personnelles collectées, nom, prénom, spécialité, numéro d'identification au répertoire partagé des professionnels de santé (RPPS) et les coordonnées professionnelles pourront être utilisées par Novo Nordisk pour la gestion des contacts avec les professionnels de santé intervenant dans le cadre du suivi des patients bénéficiant des médicaments sous accès précoce et les personnels agissant sous leur responsabilité ou autorité. Ce traitement de données personnelles repose sur nos obligations légales. Ces données seront conservées **pour une durée conforme aux obligations légales**.

Vous pouvez accéder à vos données, les rectifier et limiter leur traitement. Dans la mesure où le traitement de vos données personnelles est fondé sur le respect d'une obligation légale et poursuit un objectif d'intérêt public dans le domaine de la santé publique, vous ne disposez pas du droit d'opposition, du droit à l'effacement, ni du droit à la portabilité de vos données personnelles.

Si vous souhaitez nous contacter ou si vous avez des questions ou des demandes au sujet de ces droits écrivez-nous à dprfrance@novonordisk.com. Si vous estimez, après nous avoir contactés, que vos droits Informatique et Libertés ne sont pas respectés ou que le dispositif de contrôle d'accès n'est pas conforme aux règles de protection des données, vous pouvez adresser une réclamation à la CNIL.

Une information complète sur le traitement de vos données personnelles est disponible sur notre site internet : <https://www.novonordisk.fr/protection-des-donnees-personnelles.html>.

Fiche d'initiation de traitement

(Première administration dans le cadre de l'accès précoce – fiche à compléter uniquement pour les instaurations dans le cadre de l'accès précoce)

À remplir par le prescripteur / pharmacien

Date de la visite : ____/____/____

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

N° patient d'accès précoce (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : |_|_|_|_|_|_|_|_|

Poids (kg) : |_|_|_|_|

Maladie et biologie

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis la demande d'accès précoce ?

☐ Oui ☐ Non

Si oui, précisez lesquelles : _____

Engagement du prescripteur

Je confirme que le patient remplit toujours les critères d'éligibilité à l'accès précoce : ☐ Oui ☐ Non

Si le patient ne remplit plus les critères d'éligibilité de l'accès précoce, le prescripteur ne peut initier le traitement de son patient dans le cadre de l'accès précoce mais peut par l'intermédiaire du pharmacien de l'établissement de santé, faire une demande d'accès compassionnel en la justifiant..

Conditions d'utilisation

Date de la 1^{ère} administration d'ALHEMO dans le cadre de l'accès précoce : ____/____/____

Posologie

Dose de charge de 1 mg/kg puis 0.20 mg/kg/jour pendant 4 semaines, à adapter si nécessaire dès réception du résultat du dosage de concizumab

Traitements concomitants

| À compléter si différent de la fiche de demande de traitement.

Les traitements concomitants ont-ils été changés/modifiés depuis la dernière visite ? ☐ Oui ☐ Non.

Si oui, veuillez compléter le tableau ci-dessous :

Traitement (DCI le cas échéant)	Statut
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté

Evaluation du nombre d'épisodes hémorragiques

Survenue d'épisodes hémorragiques depuis la demande d'accès au traitement ?

☐ Non ☐ Oui, Si OUI, préciser : Nombre total d'épisodes | _ | _ |

à quelle(s) date(s) : _ / _ / _ _ _ _ ; _ / _ / _ _ _ _ ; _ / _ / _ _ _ _
 —

Nombre **d'épisodes hémorragiques** : | _ | _ | spontanés | _ | _ |
 traumatiques

Nombre **d'épisodes hémorragiques traités** : | _ | _ | spontanés | _ | _ |
 traumatiques

Atteinte(s) articulaire(s) (hémarthrose(s)) : ☐ Non ☐ Oui ; si OUI, préciser :

Nombre d'hémarthroses traitées : | _ | _ | spontanées | _ | _ | traumatiques

Nombre d'hémarthroses sur les articulations majeures (genou, coude, cheville, hanche, épaule)
 | _ | _ |

Nombre d'articulation(s) cible(s)*: | _ | _ |, Si 1 ou plus localisation(s) :

☐ Genou ☐ coude ☐ hanche ☐ Epaule ☐ Cheville ☐ Autre(s), préciser

**articulation cible = au moins 3 saignements spontanés sur la même articulation sur les 6 derniers mois*

Traitement des épisodes hémorragiques : ☐ Non ☐ Oui ; Si oui préciser dans le tableau ci-dessous

Traitement des épisodes hémorragiques

Localisation du saignement	Traitement (DCI)	Posologie	Nombre total d'injections	Date de début	Date de fin	Nombre de jours de traitement

				de trai- te- me nt	trai- te- me nt	
☐ Articulaire ☐ Muscu- laire ☐ Autres préci- ser _____ _____	Agent by-pas- sant : ☐ Oui, préci- ser ☐ rFVIIa ☐ aPCC ☐ Non, préci- ser _____ _____	_____ _____	_____ _____	- _/_ _/_ - - -	- _/_ _/_ - - -	_____ _____
☐ Articulaire ☐ Muscu- laire ☐ Autres préci- ser _____ _____	Agent by-pas- sant : ☐ Oui, préci- ser ☐ rFVIIa ☐ aPCC ☐ Non, préci- ser _____ _____	_____ _____	_____ _____	- _/_ _/_ - - -	- _/_ _/_ - - -	_____ _____

Patient initialement traité par concizumab ? ☐ Non ☐ Oui,, si oui préciser selon la situation

Pour les patients préalablement traités dans le cadre de l'accès compassionnel et ayant donc été sous concizumab entre la demande d'accès au traitement et l'initiation du traitement dans le cadre de l'AP

⇒ Evaluation des épisodes hémorragiques et nécessité de les déclarer en tant qu'effets indésirables / effets indésirables graves :

☐ Selon le prescripteur, l'(les) épisode(s) hémorragique(s) est (sont) de plus grande intensité, fréquence ou durée que ce qui pourrait être attendu pour le patient

☐ Le prescripteur considère qu'il y a une possibilité raisonnable pour que l'(les) épisode(s) soi(en)t lié(s) au concizumab

☐ L'(les) épisode(s) a (ont) mis en danger la vie du patient ou a (ont) causé le décès du patient

Si l'une des 3 cases est cochée, remplir le formulaire d'EI en Annexe I.

Pour une information complète sur la prise en charge des hémorragies intercurrentes, se référer à la rubrique 4.2 du RCP.

Evaluation de la qualité de vie des patients

Questionnaire remis au patient :

- Haemo-QoL, si patient de 13 à < 17 ans,
- Haem-A-QoL si patient $\geq$ 17 ans)

| À compléter par le patient par auto-questionnaires en annexe I.

La qualité de vie sera mesurée par l'auto-questionnaire Haemo-QoL ou Haem-A-QoL selon l'âge du patient. Le questionnaire est à remplir par le patient avant l'initiation de traitement, puis à 1, 3, 6, 9 mois, 12 mois de traitement, puis tous les 6 mois.

Le questionnaire a-t-il été remis au patient ? ☐ Non ☐ Oui, préciser :

☐ Haemo-QoL

☐ Haem-A-QoL

Le questionnaire a-t-il été complété par le patient ? ☐ Non ☐ Oui

Effet(s) indésirable(s)/ Situation(s) particulière(s)

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s) immédiat(s) ou une situation particulière à déclarer ?

☐ Oui ☐ Non

| **Si oui**, procéder à leur déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	Hôpital : _____
Hôpital : _____	☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé
☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé	Numéro FINESS : _____
Numéro FINESS : _____	Tél : Numéro de téléphone.
Tél : Numéro de téléphone.	E-mail : xxx@domaine.com
E-mail : xxx@domaine.com	Date : ____/____/____
Date : ____/____/____	Cachet et signature du pharmacien :
Cachet et signature du médecin :	

Fiche de suivi de traitement

(Visites après la première administration)

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Date de la visite : __/__/__

Visite de suivi n° M1 ☐ M3 ☐ M6 ☐ M9 ☐ M12 ☐ M18 ☐ M24 ☐

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : |_|_|_| Prénom (2 premières lettres) : |_|_|

N° patient d'accès précoce: |_|_|_|_|_|_|_|_|

Poids (kg) : |_|_|_|_|

Maladie et biologie

Des modifications majeures sont-elles survenues depuis la demande d'accès précoce ?

☐ Oui ☐ Non

Si oui, précisez lesquelles : _____

Conditions d'utilisation

Posologie

A compléter à la visite de suivi M1

Le patient a-t-il été traité au cours des 4 dernières semaines par ALHEMO ?

➔ Si NON, remplir la fiche d'arrêt de traitement le cas échéant

➔ Si OUI, un dosage de concizumab à 4 semaines doit être réalisé.

A compléter à la visite de suivi M3

Date du prélèvement pour le dosage de concizumab : __/__/__

Date de résultat du dosage de concizumab : __/__/__

Résultats du dosage de concizumab* : |_|_|_|_| ng/mL

Ce résultat a-t-il engendré une modification de posologie ? ☐ Non* ☐ Oui**,

*non : dosage entre 200 et 4000ng/mL et tableau clinique adapté,

**oui : dosage en dehors de 200 et 4000ng/mL et/ou tableau clinique inadapté,

Si OUI, compléter :

Date de la modification de posologie : __/__/__

Posologie à partir de cette date

- ☐ 0,20 mg/kg
- ☐ 0,25 mg/kg*
- ☐ 0,15 mg/kg**

*Si après 4 semaines de traitement le taux de concizumab sérique est inférieur à <200 ng/mL, la dose peut être augmentée à 0,25 mg/kg selon le tableau clinique du patient, ses antécédents médicaux et en l'absence d'anomalie des résultats d'examens de laboratoire. ** Si après 4 semaines de traitement le taux de concizumab sérique est supérieur à 4000 ng/mL, la dose doit être diminuée à 0,15 mg/kg.

Pour une information complète, se référer à la rubrique 4.2 du RCP

A compléter :

- à toutes les visites (y compris M1) pour les patients préalablement traités par concizumab dans le cadre d'un accès compassionnel),
- après M3, pour les autres patients :

En dehors du dosage de concizumab 4 semaines après l'initiation du traitement un autre dosage ELISA a-t-il été requis ?

- ☐ Non
- ☐ Oui ; si oui préciser la raison :
 - ☐ Chirurgie programmée, ☐ Episode hémorragique ☐ autre, préciser

Date du prélèvement : __/__/____

Date de résultat du dosage de concizumab : __/__/____

Résultats du dosage de concizumab* : _____ l ng/mL

Ce résultat a-t-il engendré une modification de posologie ? ☐ Non* ☐ Oui**,

* Non = dosage entre 200 et 4000 ng/mL et tableau clinique adapté,

** Oui = dosage en dehors de 200 et 4000 ng/mL et/ou tableau clinique inadapté

Si oui, compléter :

Date de la modification de posologie : __/__/____

Posologie à partir de cette date

- ☐ 0,20 mg/kg
- ☐ 0,25 mg/kg*
- ☐ 0,15 mg/kg**

Traitements concomitants et/ou soins de support

| À ne compléter que si différent de la fiche d'initiation de traitement.

Les traitements concomitants été changés/modifiés depuis la dernière visite ? ☐ Oui ☐ Non.

Si oui, veuillez compléter le tableau ci-dessous :

Traitement (<i>DCI le cas échéant</i>)	Statut
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté
_____	☐ Jamais débuté ☐ En cours ☐ Arrêté

Interruption/arrêt temporaire de traitement ou modification de posologie

☐ Oui ☐ Non

| Si oui, préciser les raisons :

☐ Interruption du traitement*	Date d'interruption _ / _ / _ _ _ _	Motif ☐ Effet indésirable ☐ Choix du patient ☐ Choix de l'équipe soignante, _____ préciser ☐ Chirurgies/gestes invasifs (compléter ci-dessous) ☐ Covid ☐ Autre _____
☐ Reprise du traitement	Date de reprise _ / _ / _ _ _ _	Posologie : _____
☐ Arrêt définitif du traitement*	⇒ Compléter la fiche d'arrêt définitif de traitement	
☐ Modification de la posologie depuis la dernière visite *	Date de modification _ / _ / _ _ _ _	Motif ☐ Effet indésirable ☐ Choix du patient ☐ Choix de l'équipe soignante, _____ préciser ☐ _____ Chirurgies/gestes invasifs (compléter ci-dessous)

		☐ Covid ☐ Autre _____
--	--	--

* En cas d'effet indésirable, compléter la fiche de déclaration d'effet indésirable en annexe 1

*En cas de décès du patient, compléter la fiche d'arrêt définitif de traitement

Chirurgie/gestes invasifs depuis la dernière visite :

☐ Oui ☐ Non.

Si oui, veuillez compléter le tableau ci-dessous :

Si oui combien | _ | _ | et remplir le tableau suivant :

Informations sur les chirurgies et gestes invasifs :

Intervention 1					
Nom de l'intervention	_____				
Motif	_____				
Date	_ _ / _ _ / _ _ _ _				
Traite- ment pré- opératoire	☐ Non ☐ oui,				
	Si oui pré- ci- ser	Nom du (des) pro- duit(s)	Posologie (dosage, fréquence, voie d'administration)	Date de Début	Date de fin
		_____	_____	_ _ / _ _ / _ _ _ _	_ _ / _ _ / _ _ _
		_____	_____	_ _ / _ _ / _ _ _ _	_ _ / _ _ / _ _ _
		_____	_____	_ _ / _ _ / _ _ _ _	_ _ / _ _ / _ _ _
Saigne- ment post opératoire	☐ Non ☐ oui,				
	Si oui, Date _ _ / _ _ / _ _ _ _				
Traite- ment pos- topératoi- re	☐ Non ☐ oui,				
	Si oui, pré- ci- ser	Nom du (des) pro- duit(s)	Posologie (dosage, fréquence, voie d'administration)	Date de Début	Date de fin
		_____	_____	_ _ / _ _ / _ _ _ _	_ _ / _ _ / _ _ _
		_____	_____	_ _ / _ _ / _ _ _ _	_ _ / _ _ / _ _ _

Intervention 2					
Nom de l'intervention	_____				
Motif	_____				
Date	__/__/____				
Traitement pré-opératoire	☐ Non ☐ oui,				
	Si oui préciser	Nom du (des) produit(s)	Posologie (dosage, fréquence, voie d'administration)	Date de Début	Date de fin
		_____	_____	__/__/____ --	__/__/____ --
		_____	_____	__/__/____ --	__/__/____ --
		_____	_____	__/__/____ --	__/__/____ --
Saignement post opératoire	☐ Non ☐ oui,				
	Si oui, Date __/__/____				
Traitement post-opératoire	☐ Non ☐ oui,				
	Si oui, préciser	Nom du (des) produit(s)	Posologie (dosage, fréquence, voie d'administration)	Date de Début	Date de fin
		_____	_____	__/__/____ --	__/__/____ --
		_____	_____	__/__/____ --	__/__/____ --

Les traitements concomitants ont-ils été interrompus : ☐ Non ☐ Oui si oui préciser

Traitement (DCI le cas échéant)	Statut
_____	☐ En cours ☐ Arrêté
_____	☐ En cours ☐ Arrêté

	☐ En cours ☐ Arrêté
---	--

Pour une information complète, se référer à la rubrique 4.2 du RCP

La prise en charge dans le cadre périopératoire est précisée dans le RCP d'ALHEMO :

« Aucun ajustement de la dose d'ALHEMO n'est nécessaire en cas de chirurgie mineure.

En cas de chirurgie majeure, consulter un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie et/ou des troubles de l'hémostase. Dans la mesure où l'expérience est limitée, il est généralement recommandé d'interrompre le traitement par concizumab avant une chirurgie majeure. il convient de consulter un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie et/ou des troubles de la coagulation. Les données cliniques sur l'utilisation du concizumab lors d'interventions chirurgicales majeures étant limitées, il est généralement recommandé d'interrompre le concizumab avant une intervention chirurgicale majeure et de le reprendre 10 à 14 jours après l'intervention, en prenant en compte le tableau clinique général du patient. Le patient peut reprendre le traitement par concizumab avec la même dose d'entretien sans nouvelle dose de charge.. »

Évaluation de l'effet du traitement par ALHEMO (concizumab)

Episode(s) hémorragiques depuis la dernière visite

Survenue d'épisodes hémorragiques depuis la dernière visite :

☐ Non ☐ Oui, si OUI, Préciser : Nombre total d'épisodes : | _ | _ |

à quelle(s) date(s) : _ _ / _ _ / _ _ _ _ ; _ _ / _ _ / _ _ _ _ ; _ _ / _ _ / _ _ _ _

Nombre **d'épisodes hémorragiques** : | _ | _ | spontanés | _ | _ | trau-
matiques

Nombre **d'épisodes hémorragiques traités** : | _ | _ | spontanés | _ | _ | trau-
matiques

Atteinte(s) articulaire(s) (hémarthrose(s)) : ☐ Non ☐ Oui

Si OUI, préciser :

Nombre **d'épisodes hémorragiques traités** : | _ | _ | spontanés | _ | _ | trau-
matiques

Nombre **d'hémarthroses sur les articulations majeures** (genou, coude, cheville, hanche, épaule) | _ | _ |

Nombre **d'articulation(s) cible(s)*** : | _ | _ |, Si 1 ou plus, localisation :

☐ Genou ☐ coude ☐ hanche ☐ Epaule ☐ Cheville ☐ Autre(s), préciser

**articulation cible = au moins 3 saignements spontanés sur la même articulation sur les 6 derniers mois*

Traitement des épisodes hémorragiques :
☐ Non ☐ Oui ; si oui préciser dans le tableau ci-dessous

Localisation du saignement	Nom du traitement	Posologie	Nombre total d'injections	Date de début de traitement	Date de fin de traitement	Nombre de jours de traitement
☐ Articulaire ☐ Musculaire ☐ Autres, préciser _____ _____	Agent by-passant : ☐ Oui, préciser ☐ rFVIIa ☐ aPCC ☐ Non, préciser _____ _____	_____ _____	_____ _____	- / - - / - - - -	- / - - / - - - -	_____ _____
☐ Articulaire ☐ Musculaire ☐ Autres, préciser _____ _____	Agent by-passant : ☐ Oui, préciser ☐ rFVIIa ☐ aPCC ☐ Non, préciser _____ _____	_____ _____	_____ _____	- / - - / - - - -	- / - - / - - - -	_____ _____

Evaluation des épisodes hémorragiques et nécessité de les déclarer en tant qu'effets indésirables / effets indésirables graves :
☐ Selon le prescripteur, l'(les) épisode(s) hémorragique(s) est (sont) de plus grande intensité, fréquence ou durée que ce qui pourrait être attendu pour le patient

☐ Le prescripteur considère qu'il y a une possibilité raisonnable pour que l'(les) épisode(s) soi(en)t lié(s) à ALHEMO

☐ L'(les) épisode(s) a (ont) mis en danger la vie du patient ou a (ont) causé le décès du patient

Si l'une des 3 cases est cochée, remplir le formulaire d'EI en Annexe I.

Pour une information complète sur la prise en charge des hémorragies intercurrentes, se référer à la rubrique 4.2 du RCP.

Evaluation de la qualité de vie des patients

Questionnaire remis au patient :

- Haemo-QoL, si patient de 13 à < 17 ans,
- Haem-A-QoL si patient > 17 ans)

| À compléter par le patient par auto-questionnaires en [annexe I](#).

La qualité de vie sera mesurée par l'auto-questionnaire Haemo-QoL ou Haem-A-QoL selon l'âge du patient. Le questionnaire est à remplir par le patient avant l'initiation de traitement, puis à 1, 3, 6, 9 mois de traitement, puis à un an puis tous les 6 mois.

Effet(s) indésirable(s)/Situation(s) particulière(s)/Grossesse

Y a-t-il eu apparition d'effet(s) indésirable(s), une situation particulière ou une grossesse à déclarer depuis la dernière visite ? ☐ Oui ☐ Non

| **Si oui**, procéder à leur déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

Médecin prescripteur	Pharmacien
Nom/Prénom : _____	Nom/Prénom : _____
Spécialité : _____	N° RPPS : _____
N° RPPS : _____	Hôpital : _____
Hôpital : ☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé	☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé
N° FINESS : _____	N° FINESS : _____
Tél : Numéro de téléphone. _____	Tél : Numéro de téléphone. _____
E-mail : xxx@domaine.com	E-mail : xxx@domaine.com
Date : __/__/____	Date : __/__/____
Cachet et signature du médecin :	Cachet et signature du pharmacien :

Fiche d'arrêt définitif de traitement

À remplir par le prescripteur/pharmacien

Date de l'arrêt définitif du traitement : __/__/__

Identification du patient

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |

N° patient d'accès précoce: | _ | _ | _ | _ | _ | _ |

Posologie à l'arrêt du traitement :

☐ 0,20 mg/kg/jour

☐ 0,25 mg/kg/jour

☐ 0,15 mg/kg/jour

☐ autre, justifier _____

Raisons de l'arrêt du traitement

☐ Survenue d'un effet indésirable suspecté d'être lié au traitement

| Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

☐ Progression de la maladie

☐ Effet thérapeutique non satisfaisant

☐ Décès

➔ Date du décès : __/__/__

➔ Raison du décès : ☐ Décès lié à un effet indésirable

| Procéder à sa déclaration auprès du laboratoire via la fiche de déclaration en annexe I.

☐ Décès lié à la progression de la maladie

☐ Autre raison : _____

☐ Souhait du patient d'interrompre le traitement

☐ Patient perdu de vue, préciser la date de dernier contact : __/__/__

☐ Ne remplit plus les critères d'éligibilité, préciser : _____

☐ Fin de l'accès précoce

☐ Autre, préciser : _____

Médecin prescripteur Nom/Prénom : _____ Spécialité : _____ N° RPPS : _____ Hôpital : _____ ☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé N° FINESS : _____ Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com Date : __/__/____ Cachet et signature du médecin :	Pharmacien Nom/Prénom : _____ N° RPPS : _____ Hôpital : _____ ☐ CHU ☐ CHG ☐ CLCC ☐ centre privé N° FINESS : _____ Tél : Numéro de téléphone. E-mail : xxx@domaine.com Date : __/__/____ Cachet et signature du pharmacien :
--	---

Questionnaire qualité de vie

À compléter par le patient

- Haem-A-QoL (Qualité de vie de l'hémophilie pour adultes ≥ 17 ans)
- Haemo-QoL (Qualité de vie de l'hémophilie pour patients de 13 à < 17 ans)

Hémophilie - AAP ALHEMO, solution injectable

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |
No patient d'accès précoce (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) :

| _ | _ | _ | _ | _ | _ |

HAEM-A-QOL

QUESTIONNAIRE POUR ADULTE

Cher patient,

Nous aimerions savoir comment vous vous êtes senti au cours des dernières semaines. C'est pourquoi nous avons imaginé quelques questions auxquelles nous voudrions que vous répondiez. Le questionnaire a été fait pour les personnes hémophiles.

Pour les questions qui suivent, nous vous prions de bien vouloir tenir compte des instructions ci-dessous :

- ⇒ Lisez attentivement chaque question s'il vous plaît.
- ⇒ Réfléchissez à votre état de santé au cours des dernières semaines.
- ⇒ Faites une croix dans la case correspondant à la réponse qui vous convient le mieux.
- ⇒ Cochez une seule case par question.
- ⇒ Il n'y a pas de bonne ou de mauvaise réponse.
- ⇒ Ce qui nous importe, c'est votre avis.
- ⇒ Certains domaines ne vous concernent peut-être pas (par exemple le sport et les loisirs, la vie de famille, le travail et les études si vous ne travaillez pas et ne faites pas d'études). Dans ce cas, cochez la catégorie « sans objet ».

L'ensemble des informations recueillies sera traité avec la plus grande confidentialité !

⇒ J'ai rempli le questionnaire le : __ / __ / __ (Jour/Mois/Année)

1. Nous souhaiterions que vous nous parliez de votre hémophilie et de votre SANTÉ PHYSIQUE...

<i>Au cours des 4 dernières semaines...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... les gonflements de mes articulations m'ont fait mal	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai eu mal à mes articulations	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai eu mal lorsque je bougeais	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je n'ai pas pu marcher aussi longtemps que je le voulais	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... il m'a fallu plus de temps pour me préparer à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐

2. ... puis que vous nous parliez des SENTIMENTS que vous éprouvez à cause de votre hémophilie.

<i>Au cours des 4 dernières semaines...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... mon hémophilie a été un poids pour moi	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... mon hémophilie m'a mis en colère	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai été inquiet à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je me suis senti exclu	☐	☐	☐	☐	☐

3. En quoi l'hémophilie a-t-elle changé LA FAÇON DONT VOUS VOUS VOYEZ ?

<i>Au cours des 4 dernières semaines...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai envié les personnes de mon âge en bonne santé	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai été satisfait de mon apparence physique	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... l'hémophilie m'a rendu la vie difficile	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je me suis senti différent des autres à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai réussi à ne pas penser tout le temps à mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐

4. Les questions suivantes portent sur le SPORT et les LOISIRS.

<i>Au cours des 4 dernières semaines...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours	sans objet
1. ... j'ai dû renoncer à des sports que j'aime à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai dû renoncer aux sports tels que le foot	☐	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai fait autant de sport que les autres	☐	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je n'ai pas eu la liberté de me déplacer où je voulais	☐	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai dû tout planifier à l'avance	☐	☐	☐	☐	☐	☐

5. Les questions suivantes portent sur le TRAVAIL et les ÉTUDES.

<i>Au cours des 4 dernières semaines...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours	sans objet
1. ... j'ai pu aller régulièrement au travail/en cours malgré mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai pu travailler/étudier comme mes collègues en bonne santé	☐	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... mes activités quotidiennes dans le travail/les études ont été affectées par mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... j'ai eu du mal à me concentrer au travail/en cours parce que j'avais mal	☐	☐	☐	☐	☐	☐

6. Les questions suivantes portent sur votre manière de GÉRER VOTRE HÉMOPHILIE.

<i>Au cours des 4 dernières semaines...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai essayé d'identifier rapidement les saignements	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai pu dire si j'avais ou non des saignements	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai pu contrôler mes saignements	☐	☐	☐	☐	☐

7. Et que pensez-vous de votre TRAITEMENT ?

<i>Au cours des 4 dernières semaines...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai été dépendant du concentré de facteur à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai été dépendant des médecins pour le traitement de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... cela m'a dérangé de devoir consacrer du temps aux injections	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je me suis senti perturbé dans mes activités quotidiennes par les injections	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai eu peur d'avoir des complications	☐	☐	☐	☐	☐
6. ... j'ai eu des difficultés avec la manière dont mon traitement a été administré	☐	☐	☐	☐	☐
7. ... j'ai eu peur qu'en cas d'urgence, les autres médecins ne sachent pas traiter l'hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
8. ... j'ai été satisfait du centre de traitement de l'hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐

8. Comment voyez-vous L'AVENIR ?

<i>Ces derniers temps...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
------------------------------	--------	----------	---------	---------	----------

1. ... je pense que ce sera difficile pour moi de mener une vie normale	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... je pense qu'avec le temps, les choses vont s'arranger	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai peur que mon état s'aggrave	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... mon hémophilie influence mes projets de vie	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai peur d'avoir un jour besoin d'un fauteuil roulant	☐	☐	☐	☐	☐

9. Les questions suivantes portent sur votre hémophilie et votre VIE DE FAMILLE.

<i>Ces derniers temps...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours	sans objet
1. ... j'ai des difficultés à avoir un enfant	☐	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai peur de ne pas pouvoir avoir d'enfants	☐	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai peur de ne pas être capable de m'occuper de mes enfants	☐	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... j'ai peur de ne pas pouvoir m'occuper de ma famille	☐	☐	☐	☐	☐	☐

10. Les questions suivantes portent sur vos RELATIONS AMOUREUSES et votre SEXUALITÉ

<i>Ces derniers temps...</i>	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours	sans objet
1. ... je trouve difficile de fréquenter quelqu'un à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... je ne suis pas sûr de moi dans mes relations amoureuses à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je n'arrive pas à avoir une relation normale à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐	☐

MERCI BEAUCOUP POUR VOTRE COOPÉRATION !

HAEM-A-QOL - France/French - Final version - 13 Jul 2007 - Mapi Research Institute.

f:\institut\cultadapl\project\3273\study\3273\final_versions\french for france\haem-a-qol\faq.doc-13/07/2007

Hémophilie - AAP ALHEMO, solution injectable

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |
 No patient d'accès précoce (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : |
 _ | _ | _ | _ | _ | _ |

HAEMO-QoL

Questionnaire pour enfants et adolescents	Version longue pour enfants	Âge : 13-16
--	------------------------------------	--------------------

Bonjour !

Nous aimerions savoir comment tu te sens ces dernières semaines. C'est pourquoi nous avons imaginé quelques questions auxquelles nous voudrions que tu répondes.

Le questionnaire a été fait pour les adolescents qui ont une hémophilie.

- ⇒ Lis chaque question attentivement s'il te plaît.
- ⇒ Réfléchis à comment ça s'est passé pour toi ces dernières semaines.
- ⇒ Coche la réponse qui te convient le mieux.

Il n'y a pas de bonne ou de mauvaise réponse. Ce qui nous importe, c'est ton avis.

<u>Un exemple</u> : ☐	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
Ces 7 derniers jours, j'ai eu envie de manger de la glace	☐	☐	☐	☐	☐

J'ai rempli le questionnaire le : __/__/____
 (Jour/Mois/Année)

Commence par nous parler de ta santé physique s'il te plaît...

Ces 7 derniers jours...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... je me suis senti malade	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai eu des douleurs	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... je me suis senti fatigué et abattu	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je me suis senti fort et plein d'énergie	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai eu peur que ma maladie ne devienne plus grave	☐	☐	☐	☐	☐

... dis-nous ensuite comment tu t'es senti de manière générale...

Ces 7 derniers jours...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai beaucoup ri et je me suis bien amusé	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... je me suis embêté	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... je me suis senti seul	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je me suis senti inquiet ou j'ai manqué d'assurance	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai été triste à cause de ma maladie	☐	☐	☐	☐	☐

... et ce que tu as pensé de toi-même.

Ces 7 derniers jours...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai été fier de moi	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... je me suis senti vraiment bien	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai été content d'être comme j'étais	☐	☐	☐	☐	☐

4. ... j'ai eu plein de bonnes idées	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai été capable de faire face à ma maladie	☐	☐	☐	☐	☐

Les questions suivantes sont en rapport avec ta famille...

Ces 7 derniers jours...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... je me suis bien entendu avec mes parents	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... je me suis senti bien à la maison	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... on s'est beaucoup disputé à la maison	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je me suis senti limité dans mes activités par mes parents	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... mes parents m'ont traité comme un enfant à cause de ma maladie	☐	☐	☐	☐	☐

... et puis avec tes amis.

Ces 7 derniers jours...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai participé à certaines activités avec mes amis	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai eu du succès parmi mes amis	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... je me suis bien entendu avec mes amis	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... j'ai eu le sentiment d'être différent des autres	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai évité que les autres ne remarquent ma maladie	☐	☐	☐	☐	☐

Maintenant nous aimerions que tu nous parles de l'école.

Ces 7 derniers jours...	jamais	rare- ment	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai bien réussi à faire mes devoirs à l'école	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai trouvé les cours intéressants	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... je me suis inquiété au sujet de mon avenir	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... j'ai eu peur d'avoir de mauvaises notes	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai raté quelque chose à l'école à cause de ma maladie	☐	☐	☐	☐	☐

MAINTENANT NOUS AIMERIONS TE POSER QUELQUES QUESTIONS EN RAPPORT AVEC TON HÉMOPHILIE !

Ici nous aimerions que tu nous parles de tes HÉMARTHROSES (SAIGNEMENTS DANS TES ARTICULATIONS).

1. Combien d'hémarthroses as-tu eues au cours du mois passé ?

☐ aucune ☐ 1 ☐ 2 ☐ plus de 2 Combien ?

Réponds aux questions suivantes seulement si tu as eu des hémarthroses, s'il te plaît.

2. À quel point as-tu été dérangé par tes hémarthroses au cours du mois passé ?

☐ pas du tout ☐ un peu ☐ moyennement ☐ beaucoup

3. Au cours du mois passé, à quel point tes hémarthroses ont-elles été graves (Si tu en as eu plusieurs, réfère-toi à l'hémarthrose la plus grave, s'il te plaît) ?

☐ pas très graves ☐ moyennes ☐ graves ☐ très graves

4. As-tu eu des sensations bizarres dans tes articulations avant d'avoir une hémarthrose ?

☐ jamais ☐ rarement ☐ parfois ☐ souvent ☐ toujours

5. As-tu été obligé de rester tranquille (p.e. rester au lit) quand tu as eu des hémarthroses ?	☐ jamais	☐ rarement	☐ parfois	☐ souvent	☐ toujours
6. As-tu aussitôt signalé tes hémarthroses à tes parents quand tu les avais ?	☐ jamais	☐ rarement	☐ parfois	☐ souvent	☐ toujours

Maintenant nous aimerions savoir qui t'a fait les PIQÛRES.

Au cours du mois passé...	jamais	rare- ment	parfois	souvent	toujours
1. ... je me suis moi-même fait les piqûres	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... ma mère m'a fait les piqûres	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... mon père m'a fait les piqûres	☐	☐	☐	☐	☐
4. l'infirmière m'a fait les piqûres	☐	☐	☐	☐	☐
5. le médecin m'a fait les piqûres	☐	☐	☐	☐	☐

Nous souhaiterions que tu nous parles de ton hémophilie et de ta SANTÉ PHYSIQUE

Au cours du mois passé...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... les gonflements de mes articulations m'ont fait mal	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai eu mal à mes articulations	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai eu mal lorsque je bougeais	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... mes articulations étaient raides	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... je ne suis pas vraiment arrivé à bouger mes bras/mes jambes	☐	☐	☐	☐	☐
6. ... je n'ai pas pu marcher aussi longtemps que je le voulais	☐	☐	☐	☐	☐

7. ... j'ai eu peur de me blesser	☐	☐	☐	☐	☐
-----------------------------------	--------------------------	--------------------------	--------------------------	--------------------------	--------------------------

... puis que tu nous parles des SENTIMENTS que tu éprouves à cause de ton hémophilie

Au cours du mois passé...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai été de mauvaise humeur à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai été triste à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... mon hémophilie a été un poids (un vrai problème) pour moi	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... j'ai été contrarié à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai été inquiet à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
6. ... je me suis senti seul à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
7. ... j'ai eu peur d'avoir des saignements	☐	☐	☐	☐	☐
8. ... je me suis senti exclu par mes amis	☐	☐	☐	☐	☐

En quoi l'hémophilie a-t-elle changé la FAÇON DONT TU TE VOIS ?

Au cours du mois passé...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai envié les garçons de mon âge en bonne santé	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... je me suis senti physiquement plus faible que les autres	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... je me suis senti aussi bien que les autres garçons de mon âge	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... j'ai été content de mon corps	☐	☐	☐	☐	☐

5.	... l'hémophilie m'a rendu la vie difficile	☐	☐	☐	☐	☐
6.	... j'ai été content malgré mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
7.	... j'ai été mal à l'aise à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
8.	... j'ai eu du mal à faire certaines choses avec d'autres enfants de mon âge	☐	☐	☐	☐	☐
9.	... je n'ai pas pu faire toutes les activités que j'aurais aimées avec mes amis à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
10.	... je me suis senti en bonne santé malgré mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐

Les questions suivantes sont en rapport avec ton hémophilie et ta FAMILLE...

Au cours du mois passé...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai été traité différemment par ma famille à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... ma mère m'a trop protégé	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... mon père m'a trop protégé	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... mes parents m'ont grondé lorsque je me suis blessé	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... mes parents m'ont interdit de faire certaines choses à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
6. ... il y a eu des problèmes à la maison à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
7. ... j'ai eu le sentiment de créer des problèmes à ma famille à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
8. ... mes parents ont réduit leur travail ou leurs activités, car ils devaient s'occuper de moi	☐	☐	☐	☐	☐

... et puis avec ton hémophilie et tes AMIS.

Au cours du mois passé...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai pu discuter de mon hémophilie avec mes amis	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... mon meilleur ami s'est soucié de savoir comment j'allais	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai eu un meilleur ami de qui je me suis senti très proche	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... mes amis se sont occupés de moi quand je n'allais pas bien	☐	☐	☐	☐	☐

**Les questions suivantes sont en rapport avec ton hémophilie et le SOUTIEN QUE TU AS L'IMPRES-
SION D'AVOIR REÇU**

Au cours du mois passé...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... les autres ont été particulièrement attentifs à moi à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... les autres ont été compréhensifs à mon égard à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai pu discuter avec d'autres des problèmes que j'ai à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... les autres m'ont soutenu	☐	☐	☐	☐	☐

Les questions suivantes sont en rapport avec ton hémophilie et les AUTRES PERSONNES

Au cours du mois passé...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... je me suis senti différent des autres à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai été gêné que d'autres soient au courant de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... les autres enfants se sont moqués de moi à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... j'ai été traité différemment à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... je me suis senti exclu lorsque les autres ont fait quelque chose ensemble	☐	☐	☐	☐	☐
6. ... certaines personnes ont fait des remarques idiotes au sujet de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐

Les questions suivantes portent sur le SPORT et l'ÉCOLE.

Au cours du mois passé...	jamais	rarement	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai dû renoncer à des sports que j'aime à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... à cause de mon hémophilie j'ai dû faire plus d'activités à la maison que les autres enfants	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai dû renoncer aux sports tels que le patin à roulettes ou le foot	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... j'ai fait autant de sport que les autres enfants	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai été traité différemment par mes professeurs à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐

6.	... j'ai participé au cours d'éducation physique à l'école malgré mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
7.	... j'ai pu participer à l'ensemble des cours malgré mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
8.	... j'ai dû renoncer aux activités particulières de l'école (p.e. des excursions) à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
9.	... j'ai eu du mal à me concentrer à l'école parce que j'avais mal	☐	☐	☐	☐	☐

Les questions suivantes portent sur ta manière de FAIRE FACE À TON HÉMOPHILIE

Au cours du mois passé...	jamais	rare- ment	parfois	souvent	toujours
1. ... je me suis efforcé de reconnaître rapidement les saignements	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... j'ai fait attention à moi	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai pu dire si j'avais ou non des saignements	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je suis arrivé à contrôler les symptômes de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... j'ai eu l'impression d'être suffisamment informé sur l'hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
6. ... l'hémophilie a été une partie comme une autre de ma vie	☐	☐	☐	☐	☐
7. ... j'ai accepté mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐

Et que penses-tu de ton TRAITEMENT ?

Au cours du mois passé...	jamais	rare- ment	parfois	souvent	toujours
1. ... j'ai été satisfait du centre de traitement de l'hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... le traitement que j'ai reçu était acceptable	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... j'ai eu une relation de confiance avec les médecins et les infirmières	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je n'ai pas aimé aller au centre de traitement de l'hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
5. ... je me suis senti dépendant des autres à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
6. ... les piqûres m'ont agacé	☐	☐	☐	☐	☐

7. ... la durée des piqûres m'a dérangé	☐	☐	☐	☐	☐
8. ... je me suis senti perturbé dans mes activités par les piqûres	☐	☐	☐	☐	☐

Comment vois-tu l'AVENIR ?

Ces derniers temps...	jamais	rare-ment	parfois	souvent	toujours
1. ... je pense que ce sera difficile pour moi de mener une vie normale	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... je pense qu'en grandissant, les choses vont s'arranger	☐	☐	☐	☐	☐
3. ... je m'inquiète pour ma santé	☐	☐	☐	☐	☐
4. ... je suis sûr de fonder une famille plus tard	☐	☐	☐	☐	☐

Que penses-tu de tes RELATIONS ?

Ces derniers temps...	jamais	rare-ment	parfois	souvent	toujours
1. ... je trouve difficile de sortir avec une fille à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐
2. ... je ne suis pas sûr de moi dans mes relations avec les filles à cause de mon hémophilie	☐	☐	☐	☐	☐

Que penses-tu de ta SANTÉ DANS L'ENSEMBLE ?

En général, ...	excel-lente	très bonne	bonne	moyenn e	mau-vaise
1. ... tu dirais de ta santé qu'elle est...	☐	☐	☐	☐	☐

Questions ouvertes

1. À quel point ton hémophilie te dérange-t-elle ?

☐ Pas du
tout

☐ Un peu

☐ Moyennement

☐ Assez

☐ beaucoup

2. Qu'est ce qui te dérange le plus dans ton hémophilie

- _____
- _____
- _____

3. Comment as-tu trouvé le questionnaire ?

(Fais une croix entre 0 et 100 sur la ligne ci-dessous au niveau qui correspond le mieux à ton cas s'il te plaît.)

0 (très mauvais) _____ 100 (très bien)

4. Avons-nous oublié quelque chose dans le questionnaire qui est important pour toi ?

- _____
- _____
- _____

5. Combien de temps as-tu mis pour remplir le questionnaire ?

Environ _____ minutes

Bravo et félicitations !

Merci pour ta coopération !

[III, enfants, version longue]

CIII-HAEMO-QOL - France/French - Final version - 13 Jul 07 - Mapi Research Institute.

f:\institut\cultadap\project\3273\study3273\final_versions\france\ciii-haemoqol\fra.doc-13/07/2007

Fiche de déclaration des effets indésirables

- Fiche de recueil d'Effet Indésirables

Hémophilie – AAP ALHEMO, solution injectable

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |
 No patient d'accès précoce (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : | _ | _ | _ | _ | _ | _ | _ |

Rapport de Pharmacovigilance Évènement Indésirable

Information concernant le professionnel de santé

Nom : _____ Prénom : _____

Profession : _____

Adresse : _____

Courriel : _____

Téléphone : _____

Fax : _____

Formulaire à retourner complété à Novo Nordisk

Sur notre plateforme : <https://www.novonordisk.com/contact-us/partners-safety-information-reporting.html>

ou

Par courrier :

Novo Nordisk

Service Vigilances

Carré Michelet – 12 cours Michelet

92800 PUTEAUX

Si vous avez rapporté cet évènement indésirable à un autre organisme (CRPV, ANSM...), merci de préciser lequel :

Information concernant le patient

Initiales : Nom (trois premières lettres) : _____ Prénom (deux premières lettres) : _____ Sexe : ☐ F ☐ H

Date de naissance (mois/année) : _____ ou Âge : _____ ou Groupe d'âge : ☐ Adolescent ☐ Adulte ☐ Personne âgée

Taille : _____ cm Poids : _____ kg

Grossesse en cours : ☐ Oui* ☐ Non ☐ Non applicable

Indication d'ALHEMO :

☐ Hémophilie B avec inhibiteurs anti-FIX, en dernier recours

☐ Hémophilie A avec inhibiteurs anti FVIII, en dernier recours

* Si oui, merci de remplir la fiche d'exposition pendant la grossesse

Antécédents médicaux et pathologies concomitantes

(Notamment : allergies, facteurs de risques, antécédents familiaux, addiction alcoolique ou médicamenteuse, antécédents familiaux de troubles thrombo-emboliques)

Date de début

Date de fin

Traitements en cours au moment de l'évènement indésirable

[illegible]

Informations concernant l'événement indésirable

Date de début : _____ Date de fin : _____

Description détaillée de l'événement indésirable (signes/symptômes et diagnostic si connu/durée/complications/déla

[illegible]

Evaluation de la causalité :			
☐ Probable	☐ Possible	☐ Improbable	
Existe-t-il une étiologie alternative ? ☐ Oui ☐ Non Si oui, laquelle ? _____			
Evaluation de la gravité :			
☐ Grave ☐ Non grave Si Grave, préciser le critère de gravité : ☐ Médicalement significatif ☐ Hospitalisation ou prolongation d'hospitalisation Date d'entrée : _____ Date de sortie _____			
S'il s'agit d'une prolongation d'hospitalisation pour un autre évènement, préciser lequel : _____ _____			
<i>Si disponible, joindre le rapport d'hospitalisation</i> ☐ Incapacité ou invalidité permanente ☐ Mise en jeu du pronostic vital ☐ Décès ☐ Anomalie/malformation congénitale ☐ Intervention médicale nécessaire ☐ Autre raison (préciser) : _____			
Résultats d'analyses :			
Des résultats sont-ils disponibles ? <i>(par exemple : résultats biologiques, tests d'allergie, de développement d'anticorps, imagerie)</i> ☐ Oui ☐ Non <i>Si disponible, joindre le rapport d'analyse</i>			
Analyse	Résultat <i>(avec unité)</i>	Valeur(s) normale(s)	Date du résultat

Evolution de l'évènement indésirable

- ☐ Inconnue
☐ Guérison complète Date _____
☐ Amélioration
☐ Etat stationnaire
☐ Séquelles Préciser : _____
☐ Décès lié à l'évènement indésirable* Date _____
☐ Décès non lié à l'évènement indésirable* Date _____
 Cause : _____

Si disponible, joindre le rapport d'autopsie

Le patient a-t-il reçu un traitement pour l'évènement indésirable ? ☐ Oui ☐ Non

Si oui, lequel ? _____

Informations concernant ALHEMO

N° de lot : _____ Date de péremption : _____

Le patient avait-il déjà été exposé à concizumab avant l'accès précoce ?

☐ Oui, Date : _____ ☐ Non

Si oui, avait-il été toléré ? ☐ Oui ☐ Non : Préciser _____

Actions prises sur ALHEMO suite à l'évènement indésirable

- ☐ Inconnu
☐ Poursuite sans changement
☐ Augmentation de la dose Nouvelle dose _____
☐ Réduction de la dose Nouvelle dose _____
☐ Arrêt du produit lié à l'évènement indésirable Date _____
☐ Arrêt du produit non-lié à l'évènement indésirable Date _____

Cause : _____ <i>En cas d'arrêt, merci de remplir la fiche d'arrêt de traitement</i>
Après l'arrêt/la réduction de dose le cas échéant, les symptômes se sont-ils : ☐ Aggravés ☐ Améliorés Si applicable, le produit a-t-il été réintroduit ? ☐ Oui ☐ Non Si oui, l'évènement est-il réapparu ? ☐ Oui ☐ Non
Suspicion de défaut qualité
☐ Oui ☐ Non Si oui, le produit a-t-il été retourné auprès de Novo Nordisk pour en tester la qualité ? ☐ Oui ☐ Non Description du défaut qualité le cas échéant : _____ _____ _____ _____ _____ _____ _____ _____

Date :

Signature du Rapporteur :

Cachet

Novo Nordisk
Carré Michelet
12 cours Michelet
92800 PUTEAUX

0 800 803 070 Service & appel gratuits

Vous pouvez aussi nous joindre depuis
les **DOM-POM** au **01 41 97 65 00**

Vos données personnelles font l'objet d'un traitement par Novo Nordisk aux fins de gestion de votre notification de pharmacovigilance ou de matériovigilance. Ce traitement est basé sur une obligation légale de vigilance sanitaire. Vos données sont conservées conformément aux durées légales. Vous pouvez accéder à vos données, les rectifier, limiter leur traitement, demander leur portabilité auprès du Responsable de la Protection des Données Personnelles de

Novo Nordisk : dprfrance@novonordisk.COM ou Carré Michelet, 12 Cours Michelet 92800 PUTEAUX. Vous disposez également de la possibilité de déposer une plainte auprès de la CNIL.

Les patients peuvent exercer leurs droits auprès de Novo Nordisk directement ou par l'intermédiaire du notificateur.

Une information complète sur le traitement de vos données personnelles est disponible sur notre site internet <https://www.novonordisk.fr/protection-des-donnees-personnelles.html>.

Note à l'attention des notificateurs hors patients : nous vous prions de bien vouloir transmettre oralement les informations ci-dessus à votre patient.

Fiche de signalement de situations particulières

- Fiche de rapport de pharmacovigilance : situations spéciales
- Fiche de rapport de pharmacovigilance : Exposition pendant la grossesse ou l'allaitement

Hémophilie – AAP ALHEMO, solution injectable

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |
 No patient d'accès précoce (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : | _ | _ | _ | _ | _ | _ |

Rapport de Pharmacovigilance Situations Spéciales

Information concernant le professionnel de santé

Nom : _____ Prénom : _____

Profession : _____

Adresse : _____

Courriel : _____

Téléphone : _____

Fax : _____

Formulaire à retourner complété à Novo Nordisk

Sur notre plateforme : <https://www.novonor-disk.com/contact-us/partners-safety-information-reporting.html>

ou

Par courrier :

Novo Nordisk

Service Vigilances

Carré Michelet – 12 cours Michelet

92800 PUTEAUX

Si vous avez rapporté cette(s) situation(s) à un autre organisme (CRPV, ANSM...), merci de préciser lequel :

Information concernant le patient

Initiales : Nom (trois premières lettres) : _____ Prénom (deux premières lettres) : _____ Sexe : ☐ F ☐ H

Date de naissance (mois/année) : _____ ou Âge : _____ ou Groupe d'âge : ☐ Adolescent ☐ Adulte ☐ Personne âgée

Taille : _____ cm Poids : _____ kg

Grossesse en cours : ☐ Oui* ☐ Non ☐ Non applicable

Indication d'ALHEMO :

☐ Hémophilie B avec inhibiteurs anti-FIX, en dernier recours

☐ Hémophilie A avec inhibiteurs anti FVIII, en dernier recours

* Si oui, merci de remplir la fiche d'exposition pendant la grossesse

Antécédents médicaux et pathologies concomitantes

(Notamment : allergies, facteurs de risques, antécédents familiaux, addiction alcoolique ou médicamenteuse, antécédents familiaux de troubles thrombo-emboliques)

Date de début Date de fin

Traitements en cours au moment de la Situation Spéciale					
Nom du produit	Indication	Voie d'administra- tion	Dosage (fréquence et unité)	Date de début du traitement	Date de fin du traitement
Informations concernant la Situation Spéciale					
<i>Pour les expositions durant la grossesse/allaitement/paternelle, remplir le formulaire grossesse</i>					
Date de début : _____ Date de fin : _____					
De quelle(s) situation(s) particulière(s) s'agissait-il ?			Définitions		
☐ Surdosage			Administration d'une quantité de médicament ou de produit, quantité par prise ou cumulée, supérieure à la dose maximale recommandée par le RCP.		
☐ Mésusage			Usage non conforme aux termes de l'autorisation ainsi qu'aux recommandations de bonnes pratiques, intentionnel, dans un but médical et inapproprié.		
☐ Abus			Utilisation excessive et volontaire, permanente ou intermittente, d'une ou plusieurs substances psychoactives, ayant des conséquences préjudiciables à la santé physique ou psychique.		
☐ Usage Détourné			Consommation d'un médicament à des fins récréatives, ainsi que sa prescription, son commerce ou tout autre utilisation à des fins frauduleuses ou lucratives.		
☐ Erreur médicamenteuse			Omission ou réalisation non intentionnelle d'un acte au cours du processus de soins impliquant un médicament, qui peut être à l'origine d'un risque ou d'un événement indésirable pour le patient.		

	<i>L'erreur médicamenteuse peut être :</i> - avérée et entraîner un effet indésirable ou ne pas entraîner d'effet indésirable - interceptée avant l'administration au patient <i>Un risque d'erreur existe lorsqu'une observation a permis d'identifier un danger potentiel pour le patient</i>
☐ Exposition professionnelle	<i>Exposition (accidentelle ou non) d'une tierce personne avec un médicament au cours d'un processus de soin dans le cadre de son activité professionnelle ou non.</i>
☐ Interaction médicamenteuse	<i>Modification de l'action d'un médicament liée à la présence d'un autre médicament (ou substance) dans l'organisme. Elle peut avoir comme effet de :</i> - provoquer ou majorer des effets indésirables, - ou entraîner, par réduction de l'activité, une moindre efficacité des traitements
☐ Suspicion de transmission d'agents infectieux	
☐ Suspicion d'inefficacité thérapeutique	<i>Partielle ou totale, en dehors des progressions naturelles de la maladie sous-jacente.</i>

Votre patient a-t-il subi un évènement indésirable suite à la situation spéciale rapportée ?

☐ Oui ☐ Non

Si oui, merci de remplir la fiche « Rapport de Pharmacovigilance – Évènement indésirable ».

Pour les erreurs médicamenteuses uniquement :

Contexte

Le patient a-t-il récemment changé de traitement durant les 3 derniers mois ? ☐ Oui ☐ Non

Est-ce la première fois que le patient est traité pour cette indication ? ☐ Oui ☐ Non

Le patient a-t-il déjà fait la même erreur médicamenteuse par le passé ? ☐ Oui ☐ Non

Le produit était-il dans son emballage d'origine ? ☐ Oui ☐ Non

Si non, préciser : _____

Personnes impliquées *(par exemple : professionnel-le de santé qui a commis l'erreur)*

☐ Médecin ☐ Infirmier-ère ☐ Pharmacien-ne ☐ Patient-e ou aidant-e ☐ Inconnu

☐ Autre, préciser : _____

À quelle étape l'erreur médicamenteuse a-t-elle été commise ?

☐ Lors de la prescription par le médecin

☐ Lors de la délivrance par le pharmacien ☐ Lorsque de la préparation pour l'administration ☐ Lorsque de l'administration ☐ Une erreur dans la surveillance nécessaire pour administrer le produit correctement (par ex. Recommandations dans le PUT ou le RCP non respectées) ☐ Autre, préciser : _____

Selon vous, quelle est la cause de l'erreur médicamenteuse ?

- | |
|--|
| ☐ Mauvais calcul de la dose
☐ Ressemblance des produits
☐ Ressemblance des noms de produit
☐ Mauvaises instructions d'utilisation du produit
☐ Distraction
☐ Luminosité insuffisante
☐ Malvoyance/daltonisme
☐ Manque de formation
☐ Mauvaise compréhension des informations (PUT, RCP, notice), préciser : _____

☐ Autre, préciser : _____ |
|--|

Décrivez les causes de l'erreur avec vos propres mots :

Date :

Signature du Rapporteur :

Cachet

Novo Nordisk
Carré Michelet
12 cours Michelet
92800 PUTEAUX

0 800 803 070 

Vous pouvez aussi nous joindre depuis
les **DOM-POM** au **01 41 97 65 00**

Vos données personnelles font l'objet d'un traitement par Novo Nordisk aux fins de gestion de votre notification de pharmacovigilance ou de matériovigilance. Ce traitement est basé sur une obligation légale de vigilance sanitaire. Vos données sont conservées conformément aux durées légales. Vous pouvez accéder à vos données, les rectifier, limiter leur traitement, demander leur portabilité auprès du Responsable de la Protection des Données Personnelles de Novo Nordisk : dprfrance@novonordisk.COM ou Carré Michelet, 12 Cours Michelet 92800 PUTEAUX. Vous disposez également de la possibilité de déposer une plainte auprès de la CNIL.

Les patients peuvent exercer leurs droits auprès de Novo Nordisk directement ou par l'intermédiaire du notificateur.

Une information complète sur le traitement de vos données personnelles est disponible sur notre site internet <https://www.novonordisk.fr/protection-des-donnees-personnelles.html>.

Note à l'attention des notificateurs hors patients : nous vous prions de bien vouloir transmettre oralement les informations ci-dessus à votre patient.

Hémophilie – AAP ALHEMO, solution injectable

Nom du patient (3 premières lettres) : | _ | _ | _ | Prénom (2 premières lettres) : | _ | _ |
 No patient d'accès précoce (si attribution numéro, code alphanumérique ou code alphabétique par le laboratoire) : | _ | _ | _ | _ | _ | _ |

Rapport de Pharmacovigilance

Exposition pendant la grossesse ou l'allaitement

Information concernant le professionnel de santé

Nom : _____ Prénom : _____

Profession : _____

Adresse : _____

Courriel : _____

Téléphone : _____

Fax : _____

Formulaire à retourner complété à Novo Nordisk

Sur notre plateforme : <https://www.novonordisk.com/contact-us/partners-safety-information-reporting.html>

ou

Par courrier :

Novo Nordisk

Service Vigilances

Carré Michelet – 12 cours Michelet

92800 PUTEAUX

Si vous avez rapporté cette(s) situation(s) à un autre organisme (CRPV, ANSM...), merci de préciser lequel :

Information concernant la mère

Initiales : Nom (trois premières lettres) : _____ Prénom (deux premières lettres) : _____

Date de naissance (mois/année) : _____ ou Âge : _____ ou Groupe d'âge : ☐ Adolescent ☐ Adulte ☐ Personne âgée

Taille : _____ cm Poids (juste avant la grossesse) : _____ kg

Grossesse en cours : ☐ Oui* ☐ Non ☐ Non applicable

La mère est-elle atteinte de diabète ? ☐ Oui ☐ Non ☐ Inconnu

Si oui, spécifier le type : ☐ Type 1 ☐ Type 2 ☐ Gestationnel

Indication d'ALHEMO :

☐ Hémophilie B avec inhibiteurs anti-FIX, en dernier recours

☐ Hémophilie A avec inhibiteurs anti FVIII, en dernier recours

Date de début des dernières règles (DDR) : _____ ☐ Inconnue

Âge gestationnel au moment de l'exposition à ALHEMO : _____ Semaines _____ Jours ☐ Inconnu Déterminé par : ☐ DDR ☐ Echographie Date d'accouchement prévu : _____ ☐ Inconnue					
Exposition à un produit Novo Nordisk, à d'autres médicaments ou compléments alimentaires à base de plantes					
Autre que ALHEMO					
Nom du produit	Indication	Voie d'administration	Dosage (fréquence et unité)	Date de début du traitement	Date de fin du traitement
Information concernant la grossesse en cours					
Nombre de fœtus : _____ ☐ Inconnu					
Complications obstétriques					
Des complications obstétriques sont-elles apparues au cours de cette grossesse (ex. : <i>pré-éclampsie</i>) ? ☐ Oui <i>compléter également l'annexe 1 et la fiche « Rapport de Pharmacovigilance – Évènement indésirable »</i> ☐ Non ☐ Inconnu <i>Si oui, à quel trimestre ? Décrire les complications ci-dessous.</i>					
Information concernant l'issue de la grossesse					
Date de l'issue de la grossesse : _____ à l'âge gestationnel de : _____ Semaines _____ Jours					
A l'issue de la grossesse, y a-t-il eu des naissances vivantes ?					

☐ Oui, préciser le nombre : _____ ☐ Non ☐ Inconnu
La grossesse s'est-elle soldée par la mort d'un fœtus ? ☐ Oui, préciser le nombre : _____ ☐ Non ☐ Inconnu <i>Si oui, compléter également l'annexe 1 et la fiche « Rapport de Pharmacovigilance – Évènement indésirable »</i> Préciser le type de mort fœtale : ☐ Avortement spontané ☐ Grossesse extra-utérine ☐ Enfant mort-né ☐ Autre, préciser : _____
La grossesse a-t-elle été interrompue ? ☐ Oui ☐ Non ☐ Inconnu <i>Si oui, compléter également l'annexe 1 et la fiche « Rapport de Pharmacovigilance – Évènement indésirable » si applicable</i> Si OUI, veuillez indiquer la ou les raisons de l'interruption de grossesse (ex : circonstances sociales, anomalie fœtale) :
Information concernant les naissances vivantes (accouchement et nouveau-né)
Accouchement
Quel a été le type d'accouchement ? ☐ Par voie basse ☐ Césarienne ☐ Inconnu En cas de césarienne, préciser s'il s'agissait : ☐ D'une urgence ☐ D'une césarienne programmée ☐ Inconnu Raison de la césarienne : _____ ☐ Inconnu <i>Si nécessaire, compléter également l'annexe 1 et la fiche « Rapport de Pharmacovigilance – Évènement indésirable »</i>
Nouveau-né
Sexe : ☐ fille ☐ garçon Taille à la naissance : _____ cm Poids à la naissance : _____ kg Score d'Apgar : Après une minute : _____ après cinq minutes : _____ après dix minutes : _____ Le nouveau-né était-il en bonne santé ? ☐ Oui ☐ Non ☐ Inconnu <i>Si non, compléter également l'annexe 1 et la fiche « Rapport de Pharmacovigilance – Évènement indésirable », et compléter ci-dessous :</i> Une anomalie congénitale ou une malformation a-t-elle été diagnostiquée chez le nouveau-né ? ☐ Oui, préciser : _____ ☐ Non ☐ Inconnu Le nouveau-né avait-il d'autres problèmes de santé ? ☐ Oui, préciser : _____ ☐ Non ☐ Inconnu
Suivi du nouveau-né de préférence à l'âge d'1 mois
Âge du nouveau-né au moment du suivi (en semaines) : _____

Prise de produits Novo Nordisk par la mère durant l'allaitement ? ☐ Oui ☐ Non ☐ Inconnu					
Si OUI, compléter les informations ci-dessous concernant le(s) produit(s) Novo Nordisk :					
Nom du produit	Indication	Voie d'administra- tion	Dosage (fré- quence et unité)	Date de début du traitement	Date de fin du traitement
Le nouveau-né était-il en bonne santé ? ☐ Oui ☐ Non ☐ Inconnu					
Si non, compléter également l'annexe 1 et la fiche « Rapport de Pharmacovigilance – Évènement indésirable », et décrire les raisons ci-dessous :					

Annexe 1

À compléter en cas de grossesse anormale et/ou d'issue anormale de la grossesse

Antécédents obstétricaux et issue des grossesses antérieures

Nombre de grossesses antérieures : _____ *Remplir ci-dessous si >0*

Y a-t-il eu une ou des naissance(s) vivante(s) ? ☐ Oui, combien : _____ ☐ Non ☐ Inconnu

Au moins une grossesse antérieure s'est-elle soldée par la mort d'un fœtus ? ☐ Oui, combien : _____ ☐ Non ☐ Inconnu

Y a-t-il eu une (des) interruption(s) de grossesse ? ☐ Oui, combien : _____ ☐ Non ☐ Inconnu

Si oui, préciser la ou les raisons (*ex : circonstances sociales, anomalie fœtale*) :

Y a-t-il eu une ou des anomalie(s) congénitale(s) ? ☐ Oui ☐ Non ☐ Inconnu

Si oui, les indiquer ci-dessous en précisant si elles est(sont) apparue(s) sur une ou des naissance(s) vivante(s) :

Des complications sont-elles apparues au cours d'un des trimestres d'une grossesse antérieure ?

☐ Oui ☐ Non ☐ Inconnu

Si oui, les décrire :

Diagnostics, facteurs de risques, infections et traitement de la fertilité de la mère

Préciser les diagnostics et facteurs de risque avant et pendant la grossesse (par ex. conditions médicales ; maladie héréditaire, traitement médical antérieur [ex. chimiothérapie] ; tabagisme [préciser le nombre de cigarettes par jour], alcool et/ou stupéfiants ; père et mère du fœtus liés par le sang [préciser la relation, ex. cousine, sœur ou demi-sœur] ; profession [décrire les expositions possibles à des agents tératogènes]).

Diagnosics et facteurs de risque	Date de début	Date de fin

La mère a-t-elle été atteinte de l'une des infections suivantes au cours de la grossesse actuelle ?

Toxoplasmose ☐ Oui, date de début : _____ date de fin : _____ ☐ Non ☐ Inconnu

Cytomégalo virus ☐ Oui, date de début : _____ date de fin : _____ ☐ Non ☐ Inconnu

Rubéole ☐ Oui, date de début : _____ date de fin : _____ ☐ Non ☐ Inconnu

Parvovirus ☐ Oui, date de début : _____ date de fin : _____ ☐ Non ☐ Inconnu

Autre infection : ☐ Oui, préciser : _____ Date de début : _____ date de fin : _____
☐ Non ☐ Inconnu

La mère a-t-elle reçu un traitement pour la fertilité avant sa grossesse ? ☐ Oui ☐ Non ☐ Inconnu

Si oui, préciser : _____

Examens et tests pertinents réalisés sur la mère et le fœtus

Indiquer les examens et tests pertinents réalisés sur la mère et/ou le fœtus, et notamment les constantes vitales, analyses de laboratoire (par ex. enzymes hépatiques, albuminurie, alpha-fœtoprotéine, gonadotrophine chorionique humaine) ou les examens effectués sur le fœtus (échographie fœtale, biopsie des villosités choriales, amniocentèse)

Concerne	Examen	Résultat	Unité	Normes	Date
☐ Mère ☐ Fœtus					
☐ Mère ☐ Fœtus					
☐ Mère ☐ Fœtus					
☐ Mère ☐ Fœtus					

Si nécessaire, joindre les rapports d'analyses ou d'examens au formulaire

Diagnostics et facteurs de risque concernant le père

Âge du père : _____

Préciser les diagnostics et facteurs de risque du père (par ex. conditions médicales ; maladie héréditaire, traitement médical antérieur ou actuel [ex. chimiothérapie] ; tabagisme [préciser le nombre de cigarettes par jour] , alcool et/ou stupéfiants ; père et mère du fœtus liés par le sang [préciser la relation, ex. cousin, frère ou demi-frère] ; profession [décrire les expositions possibles à des agents tératogènes]).

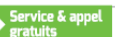
Diagnostics et facteurs de risque	Date de début	Date de fin

Date :

Signature du Rapporteur :

Cachet

Novo Nordisk
Carré Michelet
12 cours Michelet
92800 PUTEAUX

0 800 803 070 

Vous pouvez aussi nous joindre depuis
les **DOM-POM** au **01 41 97 65 00**

Vos données personnelles font l'objet d'un traitement par Novo Nordisk aux fins de gestion de votre notification de pharmacovigilance ou de matériovigilance. Ce traitement est basé sur une obligation légale de vigilance sanitaire. Vos données sont conservées conformément aux durées légales. Vous pouvez accéder à vos données, les rectifier, limiter leur traitement, demander leur portabilité auprès du Responsable de la Protection des Données Personnelles de Novo Nordisk : dprfrance@novonordisk.COM ou Carré Michelet, 12 Cours Michelet 92800 PUTEAUX. Vous disposez également de la possibilité de déposer une plainte auprès de la CNIL.

Les patients peuvent exercer leurs droits auprès de Novo Nordisk directement ou par l'intermédiaire du notificateur.

Une information complète sur le traitement de vos données personnelles est disponible sur notre site internet <https://www.novonordisk.fr/protection-des-donnees-personnelles.html>.

Note à l'attention des notificateurs hors patients : nous vous prions de bien vouloir transmettre oralement les informations ci-dessus à votre patient.

Annexe 2. Rôle des différents acteurs

1. Rôle des professionnels de santé

1.1. Le prescripteur

L'accès précoce implique le strict respect des mentions définies dans le résumé des caractéristiques du produit notamment les indications, les contre-indications, les conditions de prescription et de dispensation, ainsi que l'information et le suivi prospectif des patients traités tels que prévus par le PUT-RD.

Avant tout traitement, le prescripteur :

- prend connaissance du RCP et du présent PUT-RD ;
- vérifie l'éligibilité de son patient au médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce ;
- informe, de manière orale et écrite via le document d'information disponible en [annexe III](#), le patient, son représentant légal, s'il s'agit d'un mineur, la personne chargée de la mesure de protection juridique, s'il s'agit d'un majeur faisant l'objet d'une mesure de protection juridique avec représentation relative à la personne, ou la personne de confiance que le patient a désignée :
 - de l'absence d'alternative thérapeutique, des risques encourus, des contraintes et du bénéfice susceptible d'être apporté par le médicament ;
 - du caractère précoce et dérogatoire de la prise en charge par l'Assurance maladie du médicament prescrit dans le cadre de l'autorisation d'accès précoce ;
 - des modalités selon lesquelles cette prise en charge peut, le cas échéant, être interrompue,
 - de la collecte de leurs données et de leurs droits relatifs à leurs données personnelles.

Lorsque l'autorisation d'accès précoce est délivrée dans une indication pour laquelle le médicament ne dispose pas d'une autorisation de mise sur le marché (AMM), le prescripteur précise que la prescription ne s'effectue pas dans le cadre d'une AMM mais d'une autorisation d'accès précoce. Le prescripteur veille à la bonne compréhension de ces informations.

- complète la demande d'accès au traitement, en informe la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné qui la complète à son tour et la transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce.

Après réception de l'avis favorable d'accès au traitement du laboratoire, le prescripteur informe le médecin traitant du patient.

Le prescripteur indique sur l'ordonnance l'une ou l'autre des mentions suivantes :

- « prescription hors autorisation de mise sur le marché au titre d'une autorisation d'accès précoce » (pour les accès précoces pré-AMM) ;
ou
- « prescription au titre d'une autorisation d'accès précoce » (pour les accès précoces post-AMM).

Le prescripteur est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-RD. Il transmet à l'entreprise qui assure l'exploitation du médicament les données de suivi des patients traités, selon des modalités assurant le respect du secret médical.

Lors de l'initiation du traitement, le prescripteur remplit la fiche d'initiation de traitement (J0 première administration) et planifie des visites de suivi (voir calendrier de suivi dans le PUT-RD) au cours desquelles il devra également :

- remplir la fiche de suivi correspondante,
- rechercher la survenue d'effets indésirables et situations particulières, procéder à leur déclaration, le cas échéant selon les modalités prévues en [annexe IV](#),
- remplir la fiche d'arrêt de traitement, le cas échéant.

Chaque fiche est envoyée systématiquement et sans délai à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné pour transmission au laboratoire.

1.2. Le pharmacien

Seules les pharmacies à usage intérieur d'un établissement de santé ou les pharmaciens ayant passé convention avec un établissement de santé peuvent délivrer les médicaments sous accès précoce.

Le pharmacien :

- complète la demande d'accès au traitement ainsi que les fiches préalablement remplies par le prescripteur lors de chaque visite, et les transmet au laboratoire exploitant l'autorisation d'accès précoce ;
- commande le médicament auprès du laboratoire ;
- assure la dispensation du médicament sur prescription du médecin ;
- déclare tout effet indésirable suspecté d'être lié au traitement et situations particulières qui lui seraient rapportés.

Le pharmacien est tenu de participer au recueil des données collectées dans le cadre du PUT-RD.

2. Rôle du patient

Tout patient :

- prend connaissance des informations délivrées par son médecin et notamment des documents d'information sur son traitement qui lui sont remis ([voir annexe III](#)) ;
- remplit les questionnaires de qualité de vie, si applicable ;
- informe les professionnels de santé de tout effet indésirable ou le déclare lui-même sur le portail : www.signalement-sante.gouv.fr.

3. Rôle du laboratoire

L'entreprise qui assure l'exploitation du médicament :

- réceptionne les fiches de demandes d'accès au traitement, d'initiation et de suivi, et intègre les données dans sa base de suivi de l'accès précoce ;
- vérifie que les patients répondent aux critères d'éligibilité de l'accès précoce (notamment en ce qui concerne les indications thérapeutiques et contre-indications) ;
- adresse, au prescripteur et à la pharmacie à usage intérieur de l'établissement de santé concerné, l'avis favorable d'accès au traitement ou l'avis défavorable ;
- est responsable de traitement au sens du règlement général sur la protection des données (RGPD) ;
- collecte et analyse toutes les informations recueillies dans le cadre du PUT-RD, notamment les données d'efficacité et de pharmacovigilance. Il établit selon la périodicité définie en 1^{ère} page, le rapport de synthèse accompagné d'un projet de résumé qu'il transmet à la HAS et à l'ANSM et au CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, puis transmet le résumé de ce rapport, publié par la HAS et l'ANSM, aux médecins, aux pharmacies à usage intérieur concernées ainsi qu'à l'ensemble des CRPV et Centres antipoison ;
- respecte et applique les obligations réglementaires en matière de pharmacovigilance : il enregistre, documente, et déclare via Eudravigilance tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament selon les conditions prévues à l'article R. 5121-166 du Code de la santé publique et aux GVP Module VI (*Collection, management and submission of reports of suspected adverse reactions to medicinal products*) ;
- contacte l'ANSM sans délai et le CRPV en charge du suivi en cas de signal émergent de sécurité (quels que soient le pays de survenue et le cadre d'utilisation du médicament concerné) ou de fait nouveau susceptible d'avoir un impact sur le rapport bénéfice/risque du médicament et nécessitant le cas échéant d'adresser rapidement une information aux utilisateurs du médicament en accès précoce (médecins, pharmaciens, patients), conformément aux GVP Module IX (*Emergent Safety Issues*) ;
- finance le recueil des données dans le cadre de l'accès précoce, s'assure de l'assurance qualité et de la collecte rigoureuse exhaustive des données ;
- s'assure du bon usage du médicament dans le cadre de l'accès précoce ;
- approvisionne en conséquence la PUI et assure le suivi de lots ;
- assure la continuité des traitements initiés dans le cadre de l'accès précoce dans les conditions visées à l'article L. 162-16-5-4 du Code de la Sécurité sociale.

4. Rôle des agences de santé (ANSM et HAS)

La HAS prend la décision d'autorisation d'accès précoce.

Lorsque le médicament, dans l'indication considérée, ne bénéficie pas encore d'une autorisation de mise sur le marché, cette décision est rendue après avis conforme de l'ANSM attestant de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament dans l'indication concernée par l'accès précoce. L'avis conforme de l'ANSM, auxquels sont joints les RCP, notice et étiquetage, est annexé à la décision de la HAS.

Le PUT-RD, élaboré le cas échéant avec l'ANSM sur proposition du laboratoire, est annexé à la décision de la HAS.

La HAS et l'ANSM diffusent sur leurs sites internet leurs décisions et avis, le RCP, la notice, l'étiquetage et le PUT-RD ainsi que les résumés des rapports de synthèse.

À la suite de la délivrance de l'autorisation d'accès précoce :

- la HAS et l'ANSM le cas échéant prennent connaissance des informations transmises par le laboratoire ainsi que par le CRPV en charge du suivi de l'accès précoce et prennent toute mesure utile de manière à assurer la sécurité des patients et le bon usage du médicament ;
- elles évaluent en collaboration avec le CRPV en charge du suivi les rapports périodiques de synthèse et publient le résumé de ces rapports établis par le laboratoire ;
- l'ANSM informe sans délai le laboratoire et le CRPV en charge du suivi en cas de signal émergent de sécurité qui lui aurait été notifié ou déclaré directement qui pourrait remettre en cause l'accès précoce ;
- la HAS peut être amenée à modifier le PUT-RD ou retirer/suspendre la décision d'accès précoce selon les données disponibles ;
- en cas d'urgence, l'ANSM peut également suspendre temporairement la décision d'accès précoce pré-AMM pour des motifs de santé publique.

5. Rôle du CRPV en charge du suivi de l'accès précoce

Le centre régional de pharmacovigilance (CRPV) désigné en 1^{er} page assure le suivi de pharmacovigilance de l'accès précoce au niveau national. Il est destinataire (via le laboratoire) des rapports périodiques de synthèse et des résumés. Il effectue une analyse critique de ces documents afin d'identifier et d'évaluer les éventuels signaux de sécurité soulevés par le rapport de synthèse et valide le contenu du résumé. À cette fin, il peut demander au laboratoire de lui fournir toute information complémentaire nécessaire à l'évaluation.

Annexe 3. Documents d'information à destination des patients avant toute prescription d'un médicament en accès précoce :

Cette annexe comprend :

- un document d'information sur le dispositif d'accès précoce [avant autorisation de mise sur le marché](#) ;
- une note d'information sur le traitement des données personnelles.

Accès précoce à un médicament avant autorisation de mise sur le marché

Votre médecin vous a proposé un traitement par du laboratoire pharmaceutique Novo Nordisk dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce à un médicament.

Ce document a pour objectif de vous informer sur cette prescription et ce à quoi elle vous engage. Il complète les informations de votre médecin et vous aidera à prendre une décision à propos de ce traitement.

Qu'est-ce qu'une autorisation d'accès précoce à un médicament avant autorisation de mise sur le marché ?

Des premières recherches jusqu'à la commercialisation, tout nouveau médicament doit franchir plusieurs étapes durant lesquelles il est évalué, dans une indication² donnée, pour savoir s'il est sûr et s'il apporte un réel bénéfice aux personnes malades.

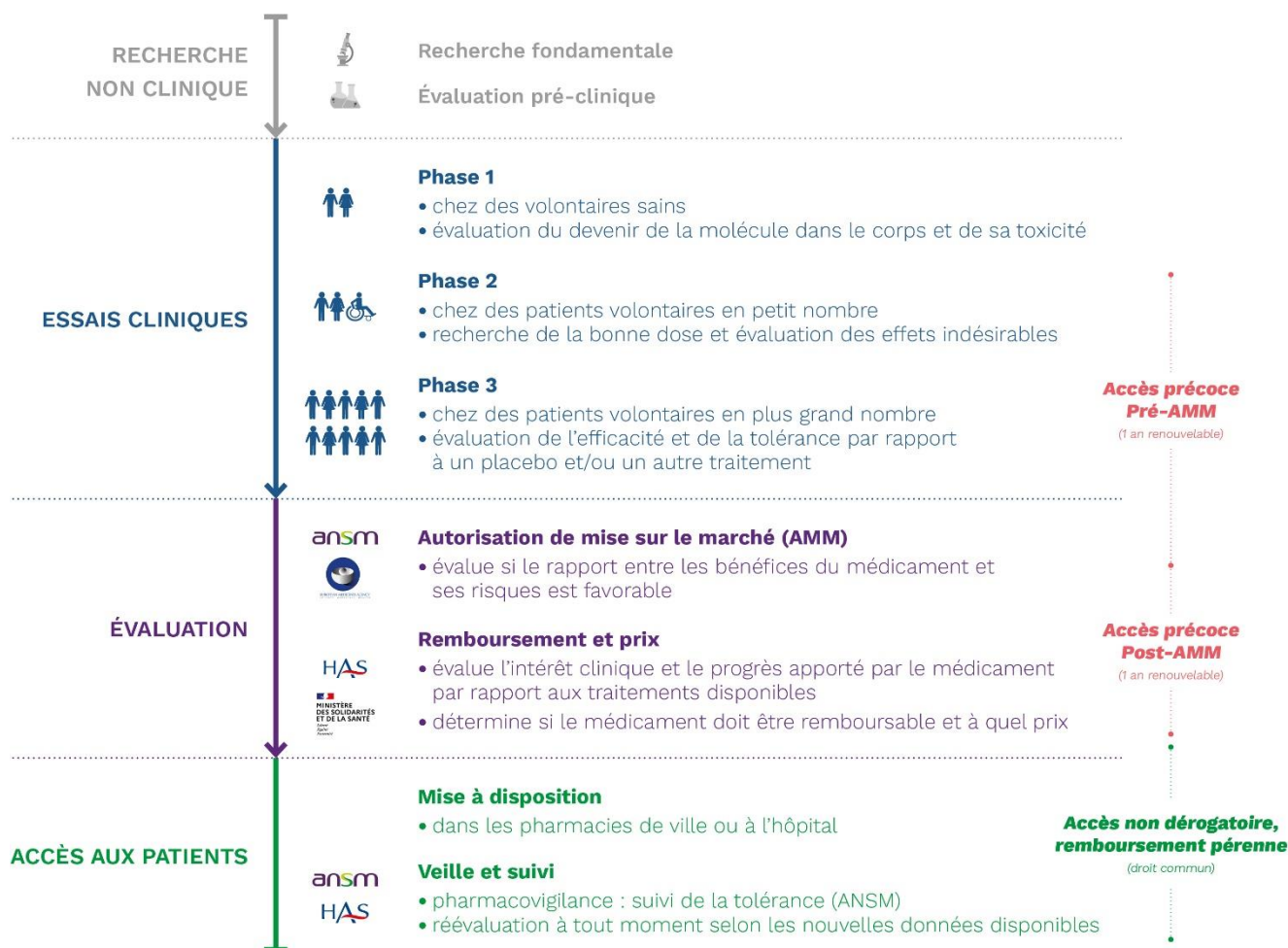
Ce parcours, depuis le début de la recherche fondamentale jusqu'à l'autorisation de mise sur le marché et la décision de remboursement et de prix, prend plusieurs années (voir schéma ci-dessous).

Une autorisation d'accès précoce permet à des personnes qui en ont un besoin urgent de prendre un médicament sans attendre qu'il ait franchi les dernières étapes.

C'est une solution pour qu'une personne qui a une maladie grave, rare ou invalidante reçoive rapidement un médicament lorsqu'il n'existe pas d'autre traitement approprié pour elle et que son état de santé ne permet pas d'attendre.

Les médicaments prescrits en accès précoce sont présumés innovants, ils sont susceptibles d'apporter un changement positif important aux personnes qui le prennent. Il s'agit par exemple du premier médicament disponible pour soigner cette maladie ou d'une nouvelle façon de prendre un traitement (par exemple des comprimés plutôt qu'une perfusion).

² Une « indication » est la maladie ou les symptômes que le médicament est capable de traiter.



Cette prescription en accès précoce est dite *dérogatoire*, ce qui veut dire que c'est une autorisation exceptionnelle accordée en dehors des règles habituelles qui s'appliquent aux médicaments en général.

L'accès précoce va de pair avec le recueil obligatoire de données pour s'assurer que le médicament est sûr et efficace en conditions réelles d'utilisation. Ces données sont recueillies par le laboratoire pharmaceutique auprès des médecins qui prescrivent le médicament, des pharmaciens qui le dispensent et des patients qui le prennent. Elles sont transmises de manière anonyme aux autorités de santé pour évaluer le médicament pendant l'accès précoce en vue de son autorisation de mise sur le marché et de son remboursement.

Les médicaments mis à disposition dans ce cadre sont intégralement pris en charge par l'Assurance maladie, sans avance de frais de votre part. Pour connaître les conditions de prise en charge d'éventuels autres frais, comme les déplacements et les hébergements, renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit.

Le médicament que l'on vous propose est-il sûr ? Est-ce que vous courez des risques en le prenant ?

Même si ce traitement n'a pas encore été totalement évalué et que l'étape des essais cliniques est encore en cours, les premiers résultats des recherches³ ont conduit à estimer que l'efficacité et la sécurité de ce médicament étaient fortement présumées dans l'indication considérée.

Un médicament est efficace quand il a des effets bénéfiques pour les personnes qui le prennent.

Un médicament est sûr lorsqu'il est bien toléré et n'a pas d'effets indésirables trop importants. Les effets indésirables sont les conséquences inattendues et désagréables du traitement (douleurs, nausées, diarrhée, etc.).

Ainsi, il est très probable que les effets indésirables de ce médicament ne soient pas trop importants par rapport au bénéfice attendu.

Cependant, dans le cas d'un médicament disposant d'une autorisation d'accès précoce, on ne sait pas encore tout sur les effets indésirables et l'efficacité du médicament dans l'indication considérée. Par conséquent, les risques pris par le patient sont plus grands pour ce médicament que pour les médicaments déjà commercialisés.

Vous pouvez en parler avec votre médecin. N'hésitez pas à poser toutes vos questions. Il vous donnera des informations sur les bénéfices et effets attendus de ce médicament dans votre situation, sur ses avantages, mais aussi sur les risques, les incertitudes ou les inconvénients (effets secondaires, contraintes de prise, etc.).

Vous pouvez aussi, en complément de ces informations, prendre connaissance de la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou sur le site internet de l'Agence nationale du médicament et des produits de santé (ANSM) - <https://ansm.sante.fr>

Vous pouvez noter ici ce qui est important pour vous (les questions que vous voulez poser à votre médecin, ce que vous ne voulez pas oublier de lui dire, etc.).

Voici les questions que certaines personnes ont posées à leur médecin :

- Que signifie être obligé de recueillir des données ? (voir plus loin, paragraphe « A quoi cela vous engage-t-il ») ;
- Existe-t-il d'autres traitements disponibles pour moi ?
- Quelle différence avec un essai clinique ?

³ Il s'agit de recherches impliquant la personne humaine à des fins commerciales auxquelles il a été procédé en vue de la demande d'autorisation de mise sur le marché.

Vous êtes libre d'accepter ou de refuser la prescription de ce médicament.

Après avoir échangé avec votre médecin, c'est à vous de décider. Vous pouvez prendre le temps de réfléchir et faire appel si besoin à la personne de confiance que vous avez désignée. À tout moment, vous avez le droit de changer d'avis et de demander à ne plus prendre ce médicament. Il faut alors en informer votre médecin le plus tôt possible.

L'équipe qui vous suit doit vous apporter la même qualité de soins, quelle que soit votre décision. Vous ne serez pas pénalisé.

En pratique, comment allez-vous recevoir ce médicament ?

La présentation d'un médicament et son utilisation varient d'un médicament à l'autre : en perfusion, en gélules ou comprimés à avaler, en injection, en inhalations, etc. Demandez des précisions à votre médecin ou reportez-vous à la notice du médicament dans sa boîte s'il y en a une ou sur le site de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) - <https://ansm.sante.fr>.

L'utilisation de ce médicament est très encadrée, très précise. Si vous prenez ce médicament chez vous, il est important :

- de respecter les préconisations qui vous ont été données pour le prendre et le conserver (certains médicaments doivent être conservés au réfrigérateur, sont à prendre à distance des repas, etc.) ;
- de demander des précisions sur le lieu où vous pourrez le trouver. Les médicaments en accès précoce ne sont pas disponibles dans les pharmacies de ville, mais seulement dans des hôpitaux. Au besoin, demandez à l'équipe qui vous suit si votre médicament peut être disponible dans un hôpital près de chez vous.

ALHEMO contient la substance active concizumab, qui appartient à un groupe de médicaments appelés « anticorps monoclonaux ». Le concizumab est une protéine qui reconnaît et se lie à une cible présente dans le sang, impliquée dans le processus de la coagulation.

ALHEMO est utilisé pour prévenir ou réduire la fréquence des épisodes hémorragiques chez les patients à partir de l'âge 12 ans :

- atteints d'hémophilie A avec inhibiteurs, en dernier recours
- atteints d'hémophilie B avec inhibiteurs, en dernier recours

L'hémophilie A est un déficit héréditaire en facteur VIII de la coagulation sanguine et l'hémophilie B est un déficit héréditaire en facteur IX de la coagulation sanguine.

Concizumab modifie l'équilibre entre les facteurs qui favorisent la coagulation du sang et ceux qui l'en empêchent. Concizumab inhibe un facteur naturel qui empêche le sang de coaguler, appelé « inhibiteur de la voie du facteur tissulaire ». Cela rend la coagulation plus efficace et aide ainsi à prévenir les hémorragies en cas de déficit d'un facteur de coagulation.

ALHEMO agit indépendamment du facteur VIII et du facteur IX et indépendamment des inhibiteurs dirigés contre ces facteurs.

Précautions d'emploi

Traçabilité

Afin d'améliorer la traçabilité des médicaments biologiques, le nom et le numéro de lot du produit administré doivent être clairement enregistrés.

Réactions d'hypersensibilité

Des réactions d'hypersensibilité de type allergique peuvent survenir. Les patients doivent être informés des signes d'une réaction d'hypersensibilité aiguë.

Si des symptômes d'hypersensibilité apparaissent, il convient de conseiller au patient d'arrêter l'utilisation d'ALHEMO et de contacter son médecin, qui doit mettre en œuvre un traitement approprié.

Événements thromboemboliques

Quelques patients ont rapporté des événements thromboemboliques non fatals au cours des essais cliniques portant sur ALHEMO. Plusieurs facteurs de risques ont contribué à la survenue de ces événements, associant des facteurs de risque thromboembolique chez les patients et l'utilisation de doses élevées ou fréquentes de traitement contre les hémorragies intercurrentes.

Les patients traités par concizumab doivent être informés des signes et symptômes d'un événement thromboembolique et surveillés afin d'en déceler la survenue éventuelle. En cas de suspicion d'événement thromboembolique, le traitement par ALHEMO doit être interrompu, des investigations complémentaires doivent être menées et un traitement médical approprié doit être initié.

Dans les situations où le facteur tissulaire est surexprimé (p. ex. maladie athérosclérotique avancée, blessure par écrasement, cancer ou septicémie), il peut y avoir un risque d'événements thromboemboliques ou de coagulation intravasculaire disséminée (CIVD).

Teneur en sodium

Ce médicament contient moins de 1 mmol (23 mg) de sodium par dose, c'est-à-dire qu'il est essentiellement « sans sodium ».

Présentation

ALHEMO se présente en stylo prérempli multidose portable non rechargeable, composé d'une cartouche en verre scellée de 1,5 mL dans un stylo injecteur, contenant des composants en plastique et des ressorts métalliques. La cartouche est fermée à son extrémité inférieure avec un disque en caoutchouc et à son extrémité supérieure avec un disque en caoutchouc laminé scellé avec un capuchon en aluminium. Les disques en caoutchouc ne sont pas en latex de caoutchouc naturel.

Le stylo prérempli est conditionné dans une boîte. ALHEMO est disponible dans les présentations suivantes, le bouton de dose et le porte-cartouche du stylo injecteur ayant un code couleur correspondant au dosage :

- 60 mg/1,5 mL (40 mg/mL) (marron) : 1 ou 5 stylos par boîte.
- 150 mg/1,5 mL (100 mg/mL) (doré) : 1 ou 5 stylos par boîte.

Toutes les présentations peuvent ne pas être commercialisées.

Les aiguilles d'injection ne sont pas incluses. Il est recommandé d'utiliser concizumab avec des aiguilles NovoFine Plus ou NovoFine ayant un calibre de 32 G et une longueur de 4 mm. Si des aiguilles de plus de

4 mm sont utilisées, il conviendra de recourir à des techniques d'injection minimisant le risque d'injection intramusculaire, comme par exemple injecter dans un pli cutané lâche .

Pour plus d'informations, se référer au RCP du produit.

À quoi cela vous engage-t-il ? Quelles seront vos contraintes ?

Comme il y a peu de recul sur le médicament qui vous est proposé, son utilisation précoce est observée avec attention pour mieux l'évaluer et le connaître. Cette surveillance est décrite en détail dans le protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD) disponible sur le site internet de la Haute Autorité de santé (HAS), de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) et du ministère chargé de la Santé (voir les adresses des sites dans la partie « Pour en savoir plus »).

Votre retour sur ce traitement est essentiel. C'est pourquoi votre avis sur ce médicament et les effets qu'il a sur vous sera recueilli de deux façons : à chaque visite avec votre médecin et entre les visites.

À chaque consultation

- ➔ Votre médecin va vous poser des questions sur la façon dont vous vous sentez avec ce traitement et rassembler des données personnelles sur votre santé et vos habitudes de vie. Pour plus de détails sur les données personnelles recueillies et vos droits, vous pouvez lire le document intitulé « Accès précoce à un médicament - Traitement des données personnelles » (voir en fin de document la rubrique « Pour en savoir plus »).

Chez vous, entre les consultations

- ➔ Vous devrez remplir un questionnaire, en ligne ou sous format papier, qui porte sur votre qualité de vie avec le médicament : vos impressions sur le traitement, comment vous vous sentez, ce que le traitement vous apporte comme changement, etc. La forme du questionnaire, le rythme et les conseils pratiques pour le remplir vous seront transmis par l'équipe de soins.

Par ailleurs, il est important que vous déclariez les effets indésirables du médicament, c'est-à-dire les conséquences inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez ressentir (douleurs, nausées, diarrhées, etc.).

En pratique

Si vous ne vous sentez pas comme d'habitude ou en cas de symptôme nouveau ou inhabituel : parlez-en à votre médecin, à votre pharmacien ou à votre infirmier/ère.

Vous pouvez, en complément, déclarer les effets indésirables, en précisant qu'il s'agit d'un médicament en accès précoce, directement via le système national de déclaration - site internet : www.signalement-sante.gouv.fr.

En partageant votre expérience de ce traitement, vous allez faire avancer les connaissances sur ce médicament, ce qui sera très utile dans la perspective de sa commercialisation éventuelle.

Lorsque l'on vous prescrit un médicament dans le cadre d'un accès précoce, vous n'entrez pas dans un essai clinique. L'objectif principal est de vous soigner et non de tester le médicament. Vous n'avez donc pas à faire d'examens supplémentaires en plus de ceux prévus dans votre prise en charge habituelle.

Combien de temps dure une autorisation d'accès précoce à un médicament ?

Une autorisation d'accès précoce est toujours temporaire, dans l'attente que le médicament puisse être commercialisé et remboursé.

L'autorisation d'accès précoce à un médicament avant son autorisation de mise sur le marché est délivrée pour une durée d'un an, renouvelable tous les ans jusqu'à sa prise en charge financière pérenne par l'Assurance maladie.

Elle peut être retirée ou suspendue dans des cas très particuliers, en fonction des nouvelles données, à la demande du laboratoire pharmaceutique ou des autorités de santé (pour plus d'informations sur ces retraits ou suspensions, reportez-vous au [guide intitulé « Accès précoce des médicaments : accompagnement des laboratoires » disponible sur le site de la Haute Autorité de santé](#)).

Que se passe-t-il si l'autorisation est suspendue ou retirée ?

Dans le cas où l'autorisation d'accès précoce de votre médicament serait retirée ou suspendue alors qu'il vous apporte des bénéfices, votre médecin pourra quand même continuer à vous le prescrire, si vous le souhaitez, pendant un an maximum à compter de la date de l'arrêté du ministre des Solidarités et de la Santé qui acte la fin de sa prise en charge financière par l'Assurance maladie.

Toutefois, ceci n'est pas possible si de nouvelles informations montrent que le médicament n'est pas assez sûr.

Traitement de vos données personnelles

Le traitement par un médicament prescrit dans le cadre d'un accès précoce implique le recueil de données personnelles concernant votre santé.

Vous trouverez des informations complémentaires relatives à vos droits dans la rubrique suivante : [« Accès précoce à un médicament – Traitement des données personnelles »](#).

Pour en savoir plus

- ➔ Notice du médicament que vous allez prendre ([à consulter sur le site de l'ANSM](#))
- ➔ Décision de la HAS sur cette autorisation d'accès précoce ([disponible sur le site de la HAS](#))
- ➔ Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données de votre médicament (en annexe de la décision de la HAS)
- ➔ [Informations générales sur les autorisations en accès précoce des médicaments](#)
- ➔ [Infographie sur le dispositif de l'accès précoce aux médicaments](#)

Des associations de patients impliquées dans la maladie qui vous concerne peuvent vous apporter aide et soutien. Renseignez-vous auprès de l'équipe médicale qui vous suit.

L'industriel peut ici préciser des noms d'associations s'il en a connaissance.

Association Française des Hémophiles :

21 rue Georges Auric

75019 Paris

Tél. : 01 45 67 77 67

<https://afh.asso.fr/>

Ce document a été élaboré par la Haute Autorité de santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé, en collaboration avec des membres d'associations de patients, membres de France Assos Santé, France Lymphome Espoir, le TRT5-CHV et Eurordis ; il a été relu par des associations de patients & d'usagers, des professionnels de santé et des entreprises du médicament concernées par l'accès précoce aux médicaments.

Note d'information à destination des patients sur le traitement des données personnelles

Un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce vous a été prescrit. Ceci implique un traitement de données personnelles sur votre santé. Ces données personnelles sont des informations qui portent sur vous, votre santé, vos habitudes de vie.

Ce document vous informe sur les données personnelles qui sont recueillies et leur traitement, c'est-à-dire l'utilisation qui en sera faite. Le responsable du traitement des données est **NOVO NORDISK** en tant que laboratoire titulaire de l'autorisation d'accès précoce.

À quoi vont servir vos données ?

Pour pouvoir obtenir une autorisation d'accès précoce, un médicament doit remplir plusieurs critères : présenter plus de bénéfices que de risques, être présumé innovant, etc ⁴. Vos données personnelles et en particulier les informations sur votre qualité de vie avec le traitement, permettront d'évaluer en continu si ces critères sont toujours remplis.

À terme, elles permettront aussi d'évaluer le médicament en vue de sa prise en charge par l'Assurance maladie.

Vos données personnelles pourront-elles être réutilisées par la suite ?

Vos données personnelles pourront également être utilisées ensuite pour faire de la recherche, étude ou de l'évaluation dans le domaine de la santé.

Cette recherche se fera dans les conditions autorisées par le Règlement européen général sur la protection des données (RGPD) et la loi du 6 janvier 1978 modifiée dite loi « informatique et liberté » et après accomplissement des formalités nécessaire auprès de la CNIL. Dans ce cadre, elles pourront être utilisées de manière complémentaire avec d'autres données vous concernant. Cela signifie que vos données personnelles collectées au titre de l'accès précoce pourront être croisées avec des données du système national des données de santé (SNDS), qui réunit plusieurs bases de données de santé (telles que les données de l'Assurance maladie et des hôpitaux).

Vous pouvez vous opposer à cette réutilisation à des fins de recherche auprès du médecin prescripteur du médicament en accès précoce.

Les informations relatives à une nouvelle recherche à partir de vos données seront disponibles sur le site du *Health Data Hub* qui publie un résumé du protocole de recherche pour tous les projets qui lui sont soumis : <https://www.health-data-hub.fr/projets>.

Sur quelle loi se fonde le traitement des données ?

Ce traitement de données est fondé sur une obligation légale à la charge de l'industriel, responsable du traitement, (article 6.1.c du [RGPD](#)) telle que prévue aux articles [L. 5121-12 et suivants du Code de la santé publique](#) relatifs au dispositif d'accès précoce aux médicaments.

⁴ Pour en savoir plus sur ces critères, voir le [site de la HAS](#).

La collecte de données de santé est justifiée par un intérêt public dans le domaine de la santé (article 9.2.i) du RGPD).

Quelles sont les données collectées ?

Votre médecin et le pharmacien qui vous a donné le médicament seront amenés à collecter les données personnelles suivantes autant que de besoin aux fins de transmission au laboratoire pharmaceutique :

- votre identification : numéro, les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, sexe, poids, taille, âge ou année et mois de naissance ou date de naissance complète si nécessaire dans un contexte pédiatrique ;
- les informations relatives à votre état de santé : notamment l'histoire de votre maladie, vos antécédents personnels ou familiaux, vos autres maladies ou traitements ;
- les informations relatives aux conditions d'utilisation du médicament impliquant notamment : l'identification des professionnels de santé vous prenant en charge (médecins prescripteurs et pharmaciens dispensateurs, etc.), vos autres traitements, les informations relatives aux modalités de prescription et d'utilisation du médicament ;
- l'efficacité du médicament ;
- la nature et la fréquence des effets indésirables du médicament (ce sont les conséquences inattendues et désagréables du traitement que vous pourriez ressentir : douleur, nausées, diarrhées, etc.) ;
- les motifs des éventuels arrêts de traitement.

Sont également collectées :

- la consommation de tabac.

Pour certains traitements, des données pourront être collectées auprès de vos proches (partenaire, ascendance, descendance, etc.), par exemple l'efficacité et la tolérance du traitement ou la qualité de vie de l'aidant.

Vous pourrez également être invité à compléter vous-même des questionnaires relatifs à votre qualité de vie.

Qui est destinataire des données ?

Toutes ces informations confidentielles seront transmises aux personnels habilités de NOVO NORDISK et ses éventuels sous-traitants (société de recherche sous contrat) sous une forme pseudonymisées. Vous ne serez identifié que par les trois premières lettres de votre nom et les deux premières lettres de votre prénom, ainsi que par votre âge.

Ces informations seront traitées uniquement pour les finalités décrites ci-dessus. Un rapport de ces informations appelé rapport de synthèse ainsi qu'un résumé de ce rapport sont transmis par le laboratoire Novo Nordisk à la HAS, aux ministres chargés de la Santé et de la Sécurité sociale et à l'Agence Nationale de Sécurité des Médicament ainsi qu'au centre régional de pharmacovigilance désigné pour assurer au niveau national le suivi de l'accès précoce.

Le résumé de ces rapports est également susceptible d'être adressé aux médecins qui ont prescrit le médicament, aux pharmaciens qui l'ont délivré ainsi qu'aux centres antipoison.

Cette synthèse, ce rapport et ce résumé ne comprendront aucune information permettant de vous identifier.

Combien de temps sont conservées vos données ?

Vos données personnelles sont conservées pendant une durée de deux (2) ans suivant l'approbation par l'ANSM du résumé du dernier rapport de synthèse que doit lui envoyer le laboratoire, pour une utilisation active.

Les données seront ensuite archivées pour les durées précisées ci-après :

- pendant la durée de l'autorisation de mise sur le marché (ou « AMM ») puis jusqu'à soixante-dix (70) ans à compter de la date de retrait du marché du médicament ;
- si aucune AMM n'est accordée ou si l'autorisation d'accès précoce est retirée ou suspendue :
 - o jusqu'à soixante-dix (70) ans à compter de l'expiration de la décision de la Haute Autorité de Santé (ou « HAS ») octroyant l'autorisation d'accès précoce, non renouvelée ou de la dernière décision de la HAS autorisant son renouvellement ;
 - o jusqu'à soixante-dix (70) ans à compter de la date de la décision de la HAS prononçant la suspension ou le retrait de l'autorisation d'accès précoce.

À l'issue de ces délais, vos données seront supprimées ou anonymisées.

Les données seront-elles publiées ?

La Haute Autorité de santé et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé publient sur leur site internet un résumé du rapport de synthèse des informations recueillies pour l'évaluation du médicament.

Des synthèses des résultats pourront par ailleurs être publiées dans des revues scientifiques.

Aucun de ces documents publiés ne permettra de vous identifier.

Quels sont vos droits et vos recours possibles ?

Le médecin qui vous a prescrit le médicament en accès précoce est votre premier interlocuteur pour faire valoir vos droits sur vos données personnelles.

Vous pouvez demander à ce médecin :

- à consulter vos données personnelles ;
- à les modifier ;
- à limiter le traitement de certaines données.

Si vous acceptez d'être traité par un médicament dispensé dans le cadre d'une autorisation d'accès précoce, vous ne pouvez pas vous opposer à la transmission des données listées ci-dessus ou

demander leur suppression. Le droit à l'effacement et le droit à la portabilité ne sont également pas applicables à ce traitement.

Vous pouvez cependant vous opposer à la réutilisation de vos données pour de la recherche.

Vous pouvez contacter directement votre médecin pour exercer ces droits.

Vous pouvez, par ailleurs, contacter le délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire à l'adresse suivante [dprfrance@novonordisk.com] pour exercer ces droits, ce qui implique la transmission de votre identité au laboratoire.

Vous pouvez également faire une réclamation à la Commission nationale de l'informatique et des libertés (CNIL) notamment sur son site internet www.cnil.fr.

Annexe 4. Modalités de recueil des effets indésirables suspectés d'être liés au traitement et de situations particulières

Qui déclare ?

Tout médecin, chirurgien-dentiste, sage-femme ou pharmacien ayant eu connaissance d'un effet indésirable/situation particulière susceptible d'être dû au médicament doit en faire la déclaration. Les autres professionnels de santé peuvent également déclarer tout effet indésirable suspecté d'être dû au médicament, dont ils ont connaissance.

Le patient ou son représentant mandaté (personne de confiance qu'il a désignée, associations agréées sollicitées par le patient) peut déclarer les effets indésirables/situations particulières qu'il, ou son entourage, suspecte d'être liés à l'utilisation du médicament.

Que déclarer ?

Tous les effets indésirables, graves et non graves, survenant dans des conditions d'utilisation conformes ou non conformes aux termes de l'autorisation, y compris en cas de surdosage, de mésusage, d'usage détourné, d'abus, d'erreur médicamenteuse, d'exposition professionnelle, d'interaction médicamenteuse, d'un défaut de qualité d'un médicament ou de médicaments falsifiés, d'une exposition en cours de grossesse (maternelle ou via le sperme), d'une exposition paternelle (altération potentielle des spermatozoïdes), d'une exposition au cours de l'allaitement.

En outre, il convient également de déclarer toute situation particulière :

- toute erreur médicamenteuse sans effet indésirable, qu'elle soit avérée, potentielle ou latente,
- toute suspicion d'inefficacité thérapeutique (partielle ou totale), en dehors des progressions naturelles de la maladie sous-jacente (en particulier avec les vaccins, les contraceptifs, les traitements de pathologies mettant en jeu le pronostic vital, les résistances inattendues à des traitements médicamenteux ou toute autre situation jugée cliniquement pertinente),
- toute suspicion de transmission d'agents infectieux liée à un médicament ou à un produit,
- toute exposition à un médicament au cours de la grossesse ou de l'allaitement sans survenue d'effet indésirable ;
- toute situation jugée pertinente de déclarer.

Quand déclarer ?

Tous les effets indésirables/situations particulières doivent être déclarés dès que le professionnel de santé ou le patient en a connaissance.

Comment et à qui déclarer ?

Pour les professionnels de santé :

La déclaration se fait via les fiches de déclarations du PUT-RD auprès du laboratoire pour les médicaments ne disposant pas d'une AMM ou directement aux CRPV dont le patient dépend sur le plan géographique pour les médicaments disposant déjà d'une AMM, via le système national de déclaration et le réseau des CRPV : www.signalement-sante.gouv.fr, en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.

Pour les patients et/ou des associations de patients :

Le plus tôt possible, après la survenue du ou des effets indésirables / situations particulières auprès du médecin, du pharmacien ou de l'infirmier/ère. Il est également possible de déclarer les effets indésirables/situations particulières directement via le système national de déclaration et le réseau des centres régionaux de pharmacovigilance : www.signalement-sante.gouv.fr en précisant que le traitement est donné dans le cadre d'un accès précoce.