Chers amis,

**La commission de la transparence de la Haute Autorité de Santé va procéder à la réévaluation des traitements par l’hormone de croissance Norditropine produite par le laboratoire Novonordisk dans l’indication enfant né petit pour l’âge gestationnel ou RCIU (retard de croissance intra-utérin).**

L’association a été sollicitée par la HAS pour recueillir l’avis des patients qui ont un traitement par hormone de croissance NORDITROPINE dans l'indication éretard de croissance intra-utérin.

**Si vous-même ou votre enfant, vous avez ou avez eu un traitement par hormone de croissance, dans le cadre d’un retard de croissance (ou syndrome de Silver-Russel ou autre syndrome, il est très important de nous faire part de votre expérience**, et même si l’hormone n’est pas Norditropine.

**En effet, si ce traitement n’est pas reconnu comme utile de la part de la HAS, son remboursement risque ensuite d’être remis en cause dans l’indication d’un déficit partiel en hormone de croissance ou chez les enfants RCIU.**

**Le médicament NORDITROPINE a été réévalué en juillet 2019**. **Le service médical rendu a été jugé faible dans le traitement du retard de croissance** (taille actuelle < -3 DS et taille parentale ajustée < -1 DS) **chez les enfants nés petits pour l’âge gestationnel** avec un poids et/ou une taille de naissance < -2DS, n’ayant pas rattrapé leur retard de croissance (vitesse de croissance < 0 DS au cours de la dernière année) à l’âge de 4 ans ou plus.

Aussi, il est très important que les patients qui ont, ou ont eu ce traitement fassent état de leurs impressions pour être entendus.

Merci de bien vouloir répondre à ces 6 questions en écrivant directement dans le texte (ou autre selon votre choix).

L’association GRANDIR fera une synthèse de toutes les réponses reçues et garantit que **toutes les réponses reçues resteront anonymes et confidentielles.** La synthèse sera adressée à la HAS.

Vous pouvez ne pas répondre à certaines questions si vous ne vous sentez pas concernés.

Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l’adresse president@grandir.asso.fr ou au 06 12 40 72 14

Ce questionnaire une fois rempli doit être adressé **avant le 10 juillet** par mail à l’adresse president@grandir.asso.fr

**Questionnaire pour la HAS « réévaluation Hormone de croissance dans l’indication « Retard de croissance intra-utérin » ou « enfant né petit pour l’âge gestationnel »**

**Impact de la maladie / état de santé**

1 Comment la petite taille, le retard de croissance intra-utérin ou le trouble de la croissance affectent-t-ils la qualité de vie des patients (court terme, long terme) ? Quels aspects posent le plus de difficultés ?

Par exemple :

- Impact fonctionnel : incapacité/difficulté à effectuer certaines activités,

- Impact social/relationnel : perte de capacité au travail/à l’école, perte de confiance, anxiété, difficultés relationnelles (moqueries...), impact sur la santé mentale, impact financier, sur l’évolution professionnelle

- Nécessité d’une aide pour la vie quotidienne

- Retentissement sur l’alimentation

- Equilibre familial

- Relation intime, troubles sexuels

**Votre réponse**

2 Comment la maladie (petite taille, retard de croissance) affecte-t-elle l’entourage (famille, proches, aidants…) ?

Par exemple :

- Effets émotionnels/ psychologiques, fatigue, stress, dépression, difficultés physiques

- Equilibre familial, parents, fratrie...Difficulté pour les vacances, les loisirs etc.

- Relation intime, vie sexuelle

**Votre réponse**

**2. Expérience avec les thérapeutiques actuelles autres que celles évaluées (on parle de toutes les hormones de croissance, quelque soit la marque) (à remplir par tous)**

2.1 Selon vous, quelles sont actuellement les thérapeutiques les plus adaptées ? Leurs avantages et inconvénients ? il s’agit ici du traitement par toutes les hormone de croissance

Par exemple, lister les principales thérapeutiques utilisées et décrire leur impact en termes :

* d’administration/de prise du traitement (fréquence/rythme, traitement à domicile/à l’hôpital, facilité d’accès, conservation du traitement, actions spécifique du patient ou de l’entourage), de consultations, d’examens complémentaires (bilan et surveillance biologique, radiologique), de prise en charge associée (kinésithérapie, psychiatrie)
* d’efficacité sur le contrôle ou la réduction des aspects les plus difficiles de la maladie
* d’effets indésirables en précisant ceux les plus difficiles à tolérer et ceux acceptables
* de répercussion sur la vie quotidienne : impact scolaire/ professionnel, impact physique, impact financier, impact sur l’entourage.
* Préoccupations sur l’usage à long terme de la thérapeutique utilisée

**Votre réponse**

2.2 Quelles sont les principales attentes des patients vis-à-vis d’une nouvelle thérapeutique ? (à remplir par tous)

Comme par exemple une hormone de croissance à délivrance hebdomadaire ou sous une forme non injectable ou tout autre médicament ?

**Votre réponse**

**3. Expériences avec le médicament évalué (à remplir par ceux qui sont sous NORDITROPINE)**

**D’après votre expérience du médicament hormone de croissance NORDITROPINE, quelles sont les conséquences positives ou négatives de son utilisation ?**

*Par exemple, en termes :*

*De facilité d’usage ou d’observance*

*D’efficacité, qualité de vie*

*D’effets indésirables*

*D’impact sur l’entourage*

*D’impact sur la vie professionnelle et sociale*

**Votre réponse**

**4. Information supplémentaire (à remplir par tous)**

*Communiquer toute information supplémentaire pouvant aider les membres de la commission dans leur évaluation.*

**Votre réponse**