

# **Recherche avec un Endocrinologue, un Endocrinologue Pédiatrique et un Néphrologue**

## **Guide de Discussion**

Janvier 2021

## PROJET GUIDE INITIAL

XLH et TIO – Indication de [Brand Name] et validation TPP du produit X

REDIGE PAR : [Brand Name]

### SOMMAIRE

| Section                                  | Répartition du temps |
|------------------------------------------|----------------------|
| Section 1 : Cadre de la Maladie          | 15 minutes           |
| Section 2 : Indications de [Brand Name]  | 15 minutes           |
| Section 3 : Validation du produit X TPP  | 25 minutes           |
| Section 4 : Évaluation de la concurrence | 5 minutes            |
| <b>Total</b>                             | <b>60 minutes</b>    |

VOIR LA PAGE SUIVANTE POUR LES INSTRUCTIONS DU MODÉRATEUR

## PROJET GUIDE INITIAL

### AU MODÉRATEUR - AVANT DE COMMENCER L'ENTRETIEN :

1. Assurez-vous que la personne interrogée est à l'aise dans le cadre de l'entretien
2. Vérifiez auprès du répondant s'il est disponible pour les 60 prochaines minutes pour participer à cet entretien
3. Vérifiez si le médecin a répondu aux questions filtres (jointes en annexe) et gardez-les à disposition pour référence pendant la discussion
4. Expliquer au répondant le but de l'entretien - *L'objectif de cet entretien est de solliciter l'opinion du répondant sur les traitements actuels des Ostéomalacie Induites par Tumeur ou d'hypophosphatémie liée à l'X (XLH), les besoins non satisfaits, le retour sur un profil de produit hypothétique pour le produit X, les attentes vis-à-vis du produit X, etc...*
5. Expliquez à la personne interrogée que, conformément aux directives de la Market Research Society, son identité sera gardée totalement anonyme. La personne interrogée devra donc s'abstenir de divulguer des informations d'identification pendant l'enregistrement de la réunion
6. Enfin, ce guide de discussion doit être considéré comme un point de référence et les questions ne doivent pas être autolimitatives mais doivent servir à ouvrir davantage la discussion. Le modérateur est fortement encouragé à adopter une approche de discussion calibrée avec des questions comme point de départ seulement au lieu du format questions/réponses

NOTE : Instructions du modérateur en [caractères bleus](#)

### **Abréviations clés :**

1. **XLH** : Hypophosphatémie liée à l'X
2. **TIO** : Ostéomalacie induite par tumeur
3. **PED** : Pédiatrie

## PROJET GUIDE INITIAL

|                  |                                          |
|------------------|------------------------------------------|
| <b>SECTION 1</b> | Le cadre des maladies et des traitements |
| <b>TEMPS</b>     | <b>10 minutes</b>                        |

*Docteur, je vais commencer cet entretien en vous posant quelques questions sur votre pratique*

1. Depuis combien de temps exercez-vous ?
  - a. Depuis combien de temps traitez-vous des patients XLH ou TIO dans votre cabinet ?
2. Suivez-vous des directives internationales ou locales dans le traitement et la gestion des XLH et des TIO ?

| Condition  | Directives de traitement |
|------------|--------------------------|
| XLH PED    |                          |
| XLH Adulte |                          |
| TIO        |                          |

3. Selon votre expérience, tous les patients diagnostiqués reçoivent-ils le traitement souhaité pour le XLH et le TIO ? Si ce n'est pas le cas, quel pourcentage des patients diagnostiqués sont traités ?

| Condition  | Taux de traitement |
|------------|--------------------|
| XLH PED    |                    |
| XLH Adulte |                    |
| TIO        |                    |

4. Dans l'exercice de votre activité, quelle est la répartition des patients pour chaque type de traitement, pour les patients traités pour XLH et TIO au cours de l'année écoulée ? [\[Demandez la répartition réelle du nombre de patients par rapport au nombre total de patients dans chaque pathologie, le nombre total de patients devra correspondre à la réponse de l'examineur\]](#)

| Condition  | Supplémentation en phosphate et/ou vitamine D active | [Brand Name] | Autres |
|------------|------------------------------------------------------|--------------|--------|
| XLH PED    |                                                      |              |        |
| XLH Adulte |                                                      |              |        |

| Condition | Résection de tumeurs | Supplémentation en phosphate et/ou vitamine D active | [Brand Name] (Burosumab) Pour les États-Unis uniquement | Ablation par radiofréquence (RFA) | Autres |
|-----------|----------------------|------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------|-----------------------------------|--------|
| TIO       |                      |                                                      |                                                         |                                   |        |

## PROJET GUIDE INITIAL

Quelles sont les raisons de cette répartition ? [Enquête sur le type de patient, l'accès du patient, etc.]

[Enquête: Pour l'UE, comment le schéma de traitement changerait-il une fois que [Brand Name] serait approuvé pour les patients atteints de TIO ?]

[Enquête : Pour les États-Unis : En prescrivant [Brand Name] aux patients atteints de TIO, suivez-vous le régime d'administration des médicaments Q2W (toutes les deux semaines) ou Q4W (toutes les 4 semaines) ? ]

5. Quels sont les défis que vous devez relever pour traiter et prendre en charge les patients XLH et TIO à l'aide des traitements actuellement disponibles ?

| Condition  | Défis/ Besoins non satisfaits                                           |                                           |                      |                                   |
|------------|-------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------|----------------------|-----------------------------------|
|            | Avec une supplémentation en phosphate <b>et/ou en vitamine D active</b> | Avec [Brand Name] (Burosumab)             | Résection de tumeurs | Ablation par radiofréquence (RFA) |
| XLH PED    |                                                                         |                                           | NA                   |                                   |
| XLH Adulte |                                                                         |                                           |                      |                                   |
| TIO        |                                                                         | Applicable uniquement pour les États-Unis |                      |                                   |

6. Quels sont les défis/les complications les plus gênantes auxquels vous êtes confrontés avec les patients XLH et TIO ?

| Condition  | Défis/ complications |
|------------|----------------------|
| XLH PED    |                      |
| XLH Adulte |                      |
| TIO        |                      |

7. Quels outils d'évaluation/échelles de mesure utilisez-vous pour évaluer l'état de la maladie, sa gravité et le pronostic pour le XLH et le TIO ?

[Enquête : quelle est la fréquence de suivi des patients en XLH et TIO] ?

|                  |                             |
|------------------|-----------------------------|
| <b>SECTION 2</b> | Indications de [Brand Name] |
| <b>TEMPS</b>     | <b>20 minutes</b>           |

*Docteur, nous aimerions consacrer un peu de temps à comprendre votre expérience avec l'inhibiteur du FGF23 actuellement disponible pour le traitement de la XLH et de la TIO - Burosumab ([Brand Name]) [Afin de masquer l'entretien, assurez-vous que la personne interrogée comprenne que nous ne lui posons des questions sur le Burosumab que parce qu'il s'agit de la seule thérapie ciblée disponible]*

8. A quel type de patients XLH et TIO prescrivez-vous du Burosumab ([Brand Name]), quels sont vos objectifs de traitement lorsque vous les traitez avec [Brand Name] ?