

FICHE

Accès précoce aux médicaments

Questionnaire de recueil du point de vue des associations de patients et d'usagers du système de santé

8 juillet 2021

- Ce questionnaire est réservé aux associations et aux groupes d'usagers du système de santé. Les associations peuvent être agréées ou non.
- L'objectif de ce questionnaire est de recueillir le point de vue de ces associations et groupes concernant une demande d'autorisation d'accès précoce déposée par un laboratoire pour un médicament dans une indication spécifique. L'information du dépôt de cette dernière figure dans le tableau de la page « [Contribuer à l'évaluation d'un médicament](#) » sur le site de la HAS, ainsi que le motif du dépôt, l'indication précise et la date limite pour répondre.
- Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou appeler le service Engagement des usagers au 01 55 93 70 00.
- Ce questionnaire une fois rempli doit être adressé à la HAS : accesprecoce.medicament@has-sante.fr. Il est transmis aux membres de la Commission de la Transparence dans son intégralité et sera rendu public sur le site de la HAS (la partie « Informations complémentaires et liens d'intérêts » est publiée selon votre autorisation).
- Ce questionnaire est en cours d'expérimentation – Il pourra faire l'objet de modifications après une phase test de 10 dossiers.

1. Identité de l'association ou du groupe d'usagers du système de santé

Nom complet suivi du sigle*¹ : Collectif #MobilisationTriplettes

Adresse du siège* : (Claude Coutier) 188 avenue de Rosenfeld – 77550 Moissy-Cramayel

Nature de la structure* : Collectif national : groupe des patientes concernées par le cancer du sein triple négatif

Nombre d'adhérents de l'association ou de participants au groupe :

Le collectif est composé de 11 personnes et il compte environ 2000 abonnés sur les réseaux sociaux.

¹ Les critères suivis d'un astérisque sont à remplir obligatoirement.

Audition souhaitée:

☒ Oui ☐ Non ;

Raison : Apporter un témoignage terrain

2. Médicament et indication en vue de l'accès précoce

Nom commercial* : TRODELVY

Dénomination commune internationale (DCI)* : Sacituzumab Govitecan

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Cancer du sein triple négatif non résécable métastatique

→ **Avez-vous un commentaire général à apporter sur la population ou l'indication demandée pour cet accès précoce ? Vous semble-t-elle pertinente ?**

Les femmes atteintes d'un cancer du sein triple négatif métastatique sont en **URGENCE DE VIE**, elles ont souvent **moins de 40 ans**. Leur **médiane de survie est de 14 mois**. Cette maladie est aujourd'hui incurable.

TRODELVY est la seule thérapie existante, à date, qui **permet de doubler l'espérance de vie** des patientes par rapport à celles traitées par chimiothérapie.

Pour ces patientes, chaque semaine de perdue pour accéder au TRODELVY est une **PERTE DE CHANCE**. Obtenir l'accès précoce au TRODELVY est indispensable et représente souvent leur dernier espoir.

Ce temps de vie en plus est un temps inestimable pour voir émerger de nouvelles thérapies qui permettront, un jour, de vivre avec cette maladie ou de la soigner.

3. Impact de la maladie sur la personne concernée et ses proches

Il n'est pas utile de rappeler ce qu'est la maladie.

Décrivez ci-dessous les conséquences essentielles de la maladie sur la qualité de vie des personnes concernées ou de leurs proches et les traitements actuels lorsqu'ils existent.

Vous pouvez répondre partiellement aux rubriques concernées.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?**

- Argument 1 : Maladie actuellement incurable et très agressive avec pour seuls traitements des lignes de chimiothérapies palliatives.
Espérance de vie médiane à 14 mois au diagnostic : **URGENCE DE VIE**

De nombreuses jeunes femmes touchées, souvent mères de jeunes enfants, décèdent prématurément

- Argument 2 : Douleurs insupportables même sous morphine 24h sur 24h jusqu'à empêcher le sommeil.

Impossibilité de partager la vie au quotidien avec ses proches et donc la vie organisationnelle (repas, ménage, conduite...) => Impact majeur sur la vie sociale, affective et familiale
- Argument 3 : État de fatigue et de concentration ne permettant que peu d'activité
impossibilité de travailler, de faire face aux responsabilités, de gérer sereinement les questions administratives

➤ Quel est l'impact de cette maladie sur la qualité de vie des patients ou de leurs proches ?

Douleurs et handicaps physiques

Epuisement chronique, difficultés de sommeil

Perte d'autonomie ; dépendance au quotidien ; prise en charge quasi complète, par un tiers, de la vie au quotidien (repas, ménage, soins enfants...)

Incapacité de travail : vie professionnelle stoppée, dégradation de la vie sociale

Détresse psychique, charge mentale énorme avec difficultés de se projeter à court moyen et long terme

Les proches sont également violemment affectés : enfants en bas âge, adolescents qui sentent leur maman moins disponible, moins efficace, moins présente....

Un conjoint très affecté par la possible perte de sa compagne, et qui doit faire face à de nombreux problèmes en plus de son activité professionnelle et son rôle de père : soutien de sa compagne, implication plus importante auprès des enfants, relation avec les proches et les soignants, gestion du quotidien, dureté d'envisager l'après...

N'oublions pas les cas délicats de mères célibataires ou divorcées : un repérage et une aide spécifique est absolument nécessaire.

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

État d'épuisement chronique, Douche de fatigue

Brouillard cérébral, problèmes de concentration

Perte de mémoire

– **Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur**

– **Activités de la vie quotidienne :**

Incapacité à gérer les tâches simples du quotidien (course, ménage, cuisine) ou même marcher plus de cent mètres, conduire, sans se sentir extrêmement fatiguée.

Difficultés à s'occuper des devoirs, et éducation des enfants.

– **Mobilité/déplacement :**

Douleurs chroniques, handicaps moteurs

– **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**

Arrêt de travail souvent suivi d'une mise en invalidité.

Reprise du travail non envisageable actuellement.

– **Vie affective :**

Fragilisée.

Mal-être : impossible de se projeter terreur de mourir et d'abandonner ses enfants et famille (détresse psychologique).

Impact de la maladie sur tous les membres de la cellule familiale (soutien psychologique pour les enfants et conjoint).

– **Vie sexuelle :**

A ré-approprier avec la nouvelle réalité physique / compromise avec les effets des traitements, perte de libido.

Choc émotionnel lié à la peur de mourir difficulté à lâcher prise pour partager.

– **Vie sociale :**

Très ralentie et restreinte, voire interrompue.

– **Autres aspects :**

Apparence physique très impactée et dégradée de manière définitive.

4. Les traitements actuellement disponibles

L'autorisation pour la demande d'accès précoce prendra en compte l'existence ou non de traitements dûment autorisés et dont les objectifs et effets sont équivalents au médicament proposé en accès précoce (disponibilité ou non d'un traitement approprié).

- **Quels sont les traitements actuels (curatifs ou palliatifs) utilisés par les personnes concernées dans l'indication mentionnée pour ce dossier ?**

Par exemple, autres médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Il convient de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le traitement pour lequel un accès précoce est demandé (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.)

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement, etc...).

Votre réponse :

Seul autre traitement disponible (hors essais cliniques) : enchaînement de lignes de chimiothérapies jusqu'à passage en soins palliatifs et décès de la patiente

Il existe de rares essais cliniques avec des critères d'éligibilité très restrictifs : très peu de patientes peuvent en bénéficier

- **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne sont pas appropriés ?**

- | | |
|----------------|---|
| - Argument 1 : | La survie pour le cancer du sein métastatique triple négatif ne s'est pas améliorée ces 20 dernières années, le pronostic vital est systématiquement engagé |
| - Argument 2 : | Absence de thérapie ciblée (hors mutation BRCA qui représente 10% des Triplettés) |
| - Argument 3 : | Absence de thérapie innovante, comme l'immunothérapie (hors essais cliniques) |

5. Le médicament étudié en vue d'un remboursement dérogatoire dans le cadre d'une autorisation en accès précoce

Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement (par exemple, au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur), remplir la rubrique « 5.1. L'expérience avec le médicament étudié » et expliquer la méthode avec laquelle vous avez recueilli cette expérience dans la rubrique « 8. Méthodes. »

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, remplir la rubrique « 5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié ».

La Haute Autorité de santé évaluera le caractère innovant, notamment au regard des changements substantiels que cette nouvelle modalité de prise en charge apporte aux patients. Il est important d'identifier ce qui peut constituer du point de vue des personnes un changement substantiel au regard de l'impact de la maladie sur la qualité de vie.

Les catégories suivantes sont proposées à titre indicatif. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients majeurs qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé du patient, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave*
- *la qualité de vie du patient (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives),*
- *la qualité de vie de ses proches,*
- *l'usage de ce traitement,*
- *le parcours de santé et de vie du patient*
- *autres.*

5.1 L'expérience avec le médicament étudié

Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement

Ne remplir cette partie que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

 **Quelles sont les 3 améliorations majeures qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

• Amélioration majeure 1 :

Progression de la maladie endiguée, pronostic vital amélioré/espérance de vie prolongée

Diminution de 30% des tumeurs cibles au bout d'un délai court (6 semaines), puis stabilisation de la progression de la maladie pendant 18 mois, meilleurs résultats obtenus depuis le début de la prise en charge de la maladie

- Amélioration majeure 2 :

Diminution nette des douleurs, de fortes à insignifiantes

Quasi indolence des lésions osseuses rapidement

Possibilité de manger à nouveau et de reprendre un rythme de sommeil

- Amélioration majeure 3:

Energie vitale retrouvée avec un quotidien qui redevient « normal » au fil des cycles : de moins en moins de fatigue, meilleure mobilité, récupération d'autonomie avec une meilleure capacité à gérer sans aide les tâches du quotidien et les déplacements, beaucoup moins de temps de repos allongé, vie sociale facilitée...

Amélioration de la qualité de vie du patient et du coup pour ses proches

- Autres améliorations :
-

Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Ne remplir que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

- ⇒ **Quels sont les 3 principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié identifiés par les patients, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?**

- Inconvénient principal 1 :

Douleurs abdominales, fortes diarrhées, ballonnements et spasmes

- Inconvénient principal 2 :

Forte fatigue après les 5 premiers jours de réception du traitement

- Inconvénient principal 3 :

Alopécie totale (cheveux, cils, sourcils) à 14 jours et donc image de soi compliquée

- Autres inconvénients :

Très légère mucite facilement soignée

CRAINTES MAJEURES :

- Peur que le traitement ne fonctionne plus rapidement du jour au lendemain
- Peur que le corps ne supporte plus le traitement
- Peur qu'il n'y ait plus de traitement possible après TRODELVY

5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié

Vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients ayant utilisé le médicament étudié, mais souhaitez donner votre point de vue sur ce médicament.

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

- Quelles seraient les 3 améliorations majeures qui vous permettraient de dire que le médicament étudié vous semblerait **innovant** par rapport aux traitements actuels ?

- Attente majeure 1 :

- Attente majeure 2 :

- Attente majeure 3:

- Autres attentes :

5.2.2. Vos craintes concernant le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

- Quelles sont les principales craintes que soulignent les patients concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

- Crainte principale 1 :

 - Crainte principale 2 :

 - Crainte principale 3 :

 - Autres craintes :
-

6. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé

La HAS peut **décider** de transmettre le projet de Protocole d'utilisation thérapeutique (**sous engagement de confidentialité**) – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations **ou groupes** d'usagers **du système de santé**. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

- ➔ **Quels sont les 3 types d'informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement ?**
 - Type d'information 1 : Douleurs liées à la maladie
 - Type d'information 2 : Effets secondaires liés au traitement
 - Type d'information 3 : Qualité de vie au quotidien

 - ➔ **Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs²) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?**
 - ☒ Non
 - ☐ Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?
-

- ➔ **Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)**

² Les PROMs : *Patient reported outcomes measures* sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

Le patient devrait remplir le questionnaire idéalement en toute autonomie (pour éviter d'être influencé dans ses réponses). Dans le cas contraire, il devra se faire aider par une tierce personne. La collecte des données à l'hôpital lors des rendez-vous devrait garantir un meilleur taux de retour des questionnaires.

- **Avez-vous un avis sur les mesures de gestion des risques qui vous semblent nécessaires et acceptables à prendre pour les patients qui recevront ce médicament ?**

Sensibiliser / informer le médecin traitant sur cette thérapie et ses effets secondaires.

Rappeler les signes d'alerte aux patients et les numéros d'urgence.

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

La HAS peut décider de transmettre le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'usagers. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de bien vouloir renseigner la rubrique suivante.

- **Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**
-

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple analyse du projet de protocole d'utilisation thérapeutique-recueil de données, enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, ligne téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

- **Selon quelle méthode avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles (§4) ?**

Les informations sont le résultat de notre expérience de patientes et de notre implication pour faire avancer la cause des Triplettes (femmes atteintes d'un cancer du sein triple négatif métastatique).

Nous avons également sollicité 3 patientes :

- 1 en cours de traitement TRODELVY depuis janvier 2021
- 1 en cours de traitement TRODELVY depuis juin 2021
- 1 ayant participé à l'essai clinique ASCENT (immu 132) pendant 18 mois

- **Selon quelle méthode avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement (§5.1) ? Le recueil a-t-il été réalisé par l'association, par le laboratoire ou par les deux ?**

Le recueil a été réalisé par le Collectif #MobilisationTriplettes.

Le présent formulaire a été adressé par mail aux patientes pour répondre aux paragraphes 3 et 5.1.

Deux représentantes du Collectif ont consolidé les réponses et gardant les verbatim formulés par les patientes sollicités.

- **Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**

- ☒ Oui
- ☐ Non

- **Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?**

Rédaction : deux représentantes du collectif #MobilisationTriplettes (Widad KHIDER et Claude COUTIER)

Contributions : 3 patientes avec l'expérience du TRODELVY (dont 2 du collectif #MobilisationTriplettes)

- **L'association a-t-elle reçu des aides extérieures pour soutenir sa contribution ? Si oui, lesquelles ?**

Partage avec l'association Mon Réseau Cancer du Sein

9. Synthèse

Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuelles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que...

Votre réponse :

Difficultés de la maladie :

- Dégradation progressive : douleurs, perte d'autonomie, impact sur le cercle familiale, perte de vie sociale, passage en invalidité, arrêt de la vie professionnelle (conséquence financière),...
- Concerne des jeunes femmes : impact fort sur les enfants (souvent en bas âge)...

Thérapeutiques actuelles :

- Médiane de survie de 14 mois – Absence de thérapie ciblée et de traitement curatif
- Aucune amélioration de l'espérance de vie depuis 20 ans – Pronostic vital engagé
- Un avenir sombre : enchaînement des traitements jusqu'au décès de la patiente

- NOUS N'AVONS PAS le temps d'attendre ! Nous sommes face à des URGENCES DE VIE

TRODELVY :

Trodelvy est le seul traitement, à date qui double l'espérance de vie des Triplettes métastasées. C'est un traitement qui ouvre la porte d'un nouvel espoir, à une étape de vie précieuse pour la malade et ses proches. Ce constat est unanimement partagé avec les oncologues.

Actuellement trop de Triplettes, en impasse thérapeutique, sont en attente de ce traitement (via les ATU en cours). Certaines mourront avant de pouvoir accéder au TRODELVY.

Selon les chiffres communiqués par l'ANSM (en date du 24/08) :

- 106 patientes sont en attente et de nouvelles demandes arrivent régulièrement,
- Seules 101 patientes ont reçu du TRODELVY depuis le début des ATU

On constate que le traitement semble bien fonctionner pour 2/3 d'entre elles alors qu'elles en bénéficient en traitement de la dernière chance (leur maladie est déjà particulièrement avancée)

(Remarque : PUT consulté partiellement ET nécessiterait peut-être un accompagnement de lecture pour des non-initiés)

³ Les données personnelles collectées dans le cadre de ce questionnaire (nom, prénom, adresse e-mail, n° de téléphone professionnel, fonction) servent uniquement à la gestion de votre contribution et ne sont transmises qu'à la HAS.

Elles seront conservées pendant 10 ans.

Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par courriel à l'adresse suivante : dpo@has-sante.fr.