

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 sigle¹ : Association Française des Malades du Myélome Multiple (AF3M)

Adresse du siège* : 30, Rue Pasquier - 75008 Paris

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national

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

2800 adhérents

Audition souhaitée:

☒ Oui ☐ Non ;

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

Raison : Pouvoir exprimer des positions qui vont au-delà des aspects abordés dans le questionnaire

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

Nom commercial* : **ABECMA**

Dénomination commune internationale (DCI)* : Car T développé par BMS

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire ayant reçu au moins trois traitements antérieurs, incluant un agent immunomodulateur, un inhibiteur du protéasome et un anticorps anti-CD38, et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement.

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

Le myélome multiple est une pathologie positionnée dans les maladies rares ; et il y a en permanence des malades pour qui les traitements actuels n'apportent aucune solution thérapeutique

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 : Le myélome eu égard à son niveau de prévalence moyen est classé dans les maladies rares
- Argument 2 : Les malades visés par la présente demande d'autorisation précoce sont des malades très avancés dans la maladie pour lesquels ce nouveau traitement constitue leur seule chance de survie à court terme
- Argument 3 : La plupart des malades visés par ce nouveau traitement, eu égard aux nombreux traitements qui leur ont déjà été proposés, souvent sans succès, sont confrontés à de multiples conséquences : fatigue, douleurs osseuses,de nature invalidante.

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

Le myélome multiple est une maladie qui provoque des bouleversements importants en termes de qualité de vie tant pour le malade que pour ses proches.

Pour en savoir plus consulter le bulletin Af3m [Bulletin 42 Sept 2021 \(af3m.org\)](https://www.af3m.org/fr/bulletin-42-sept-2021), l'article qui présente les conclusions de l'enquête réalisée en 2021 par l'AF3M dans l'objectif de mieux comprendre comment les malades et leurs proches vivaient avec leur myélome multiple.

Cette enquête comportait deux questionnaires : l'un a été proposé auprès de 442 malades du myélome multiple et, pour la première fois, l'autre auprès de 155 proches aidants.

- **Fatigue intellectuelle ou physique :**

Extrait du rapport de l'enquête réalisée en 2021

Bien que 62% des malades se déclarent combattifs et mener une vie active malgré la maladie, **la moitié d'entre eux ressent de la fatigue, voire de l'épuisement**. Parmi cette majorité, les effets secondaires des traitements restent très présents : 67% déclarent souffrir de neuropathies, 54% de troubles gastriques et plus de 50% de problèmes de mémoire. À souligner qu'une majorité de ces symptômes n'est toujours pas prise en charge. Au-delà des difficultés physiques, les malades expriment des difficultés d'ordre psychologique et social. Une majorité d'entre eux se sent anxieuse avant chaque bilan sanguin et avant chaque visite chez l'hématologue.

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

Sans objet

- **Activités de la vie quotidienne :**

Extrait du rapport de l'enquête réalisée en 2021

Bien qu'ils déclarent pour les ¾ bénéficier d'une bonne qualité de vie, **plus de la moitié estime que la maladie les empêche de mettre en place des projets**. La promenade arrive en tête des activités qui améliorent le quotidien, activité commune entre le malade et son proche.

- **Mobilité/déplacement :**

Les douleurs osseuses ont un impact important sur la mobilité des malades, qui conduit certains à bénéficier d'une reconnaissance pour handicap

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

L'impact du myélome sur la vie professionnelle est l'objet de l'un des 3 programmes de recherche du SIRIC ILIAD de Nantes Angers auquel l'AF3M contribue.

Ce programme s'appuie sur une vision intégrée en oncologie, il est articulé autour du parcours de soin et du parcours de vie des malades : depuis le diagnostic, à l'évaluation de la réponse au traitement, à l'étude de la rechute et à l'après traitement avec la reprise du travail.

Le programme ReWork-QoL qui traite de ces questions vise à développer des outils prédictifs de la qualité de vie durant le parcours de soins et de retour au travail à la fin du traitement anti-tumoral.

Une part importante des malades en âge de travailler ne retrouve pas sa situation professionnelle antérieure à la maladie. Les traitements entraînent de longs arrêts de travail avec très souvent une reconnaissance d'handicap auprès de la MDPH. De nombreux malades ont besoin d'aménagement de poste ou sont dans l'obligation d'être en invalidité

– **Vie affective :**

Le MOOC « Comprendre et vivre avec un myélome » développé par l'AF3M consacre un module complet pour traiter de l'impact de cette maladie sur « **Les relations du malade avec ses proches, ses aidants et son entourage** »

En suivant ce module, les participants : malades ou proches ont la possibilité de partager leur expérience en étant accompagné par des tuteurs : malades ou proches bénévoles de l'AF3M.

Ce module traite notamment des questions relatives à la vie affective, sexuelle et sociale.

A l'occasion des deux sessions organisées chaque année, une webconférence animée par une onco psychologue est organisée afin de répondre questions soulevées par les participants.

Pour en savoir plus : [Actions Myélome \(actions-myelome.org\)](http://actions-myelome.org)

– **Vie sexuelle :**

Dans l'enquête 2021, 41 % des malades disent que la maladie a des répercussions dans leur vie de couple. Ce nombre passe à 46 % quand on interroge les proches-aidants

– **Vie sociale :**

50% des malades interrogés et 75 % des proche-aidants expriment des difficultés d'ordre psychologique et social

– **Autres aspects :**

L'angoisse de la rechute pour les malades en rémission est clairement exprimée tant par les malades eux-mêmes que par leur entourage

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 :

Comme le mentionne l'objet de cette demande d'accès précoce, ce nouveau traitement a pour cible les malades devenus réfractaires, après avoir reçu, au moins trois traitements antérieurs, à l'ensemble des traitements aujourd'hui disponibles pour traiter un malade en rechute, à savoir des traitements incluant un agent immunomodulateur (Dexaméthasone), un inhibiteur du protéasome (Velcade, Kyprolis, Ninlaro) et un anticorps anti-CD38 (Darzalex, Sarclisa, ,)

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

- Argument 1 : Avec un myélome non contrôlé et en progression, le pronostic vital risque vite d'être engagé, l'accès à un nouveau traitement constitue pour les malades concernés une ultime chance
- Argument 2 : Le cumul de traitements, trois lignes et plus, est souvent source d'une qualité de vie dégradée, d'effets secondaires durables
- Argument 3 : Les traitements actuels permettent aux malades de bénéficier d'une période de rémission plus ou moins longue, ABECMA tout en ne nécessitant qu'un traitement médical limité dans le temps, pourrait être de nature de permettre à ces malades d'accéder à un niveau de guérison qualifiée de fonctionnelle.

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 :

Ne nécessite qu'un traitement court, certes avec des effets secondaires potentiels graves mais contrôlés eu égard à l'expérience acquise dans d'autres pathologies, notamment le lymphome

- Amélioration majeure 2 :

Permet au malade de retrouver une qualité de vie meilleure que lorsqu'ils étaient en permanence en traitement, pour les malades jeunes d'imaginer retrouver une activité professionnelle.

- Amélioration majeure 3:

Offrir la perspective d'une possibilité de rémission durable, qualifiée de guérison fonctionnelle

- Autres améliorations :

Certes le coût de ce nouveau traitement est très élevé, mais s'il permet aux malades d'éviter d'être confrontés à des lignes de traitements successives, à l'arrivée tout le monde est gagnant, en premier lieu les malades, mais aussi notre système de santé, grâce à la perspective de dépenses mieux maîtrisées

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 :

Le manque de recul : si l'Af3M ne peut que se féliciter que cette demande d'accès précoce ait été déposée sur la base des résultats d'un essai clinique de phase 2, nous restons prudents quant au caractère définitif des premiers résultats très encourageants mis en avant.

- Inconvénient principal 2 :

La complexité du process d'élaboration des Car T qui peut être de nature à créer des inégalités d'accès au niveau territorial, d'autant plus que la France ne dispose pas des outils nécessaires à leur développement

- Inconvénient principal 3 :

Les questions d'éthique liées au fait que les Car T nécessitent de modifier le patrimoine génétique du malade

- Autres inconvénients :
-

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 :

Une avancée significative vers une possibilité de guérison au moins pour un certain nombre de malades réfractaires aux traitements actuels

- Attente majeure 2 :

Offrir à des malades sans solution thérapeutique, une possibilité nouvelle de rémission en retrouvant une bonne qualité de vie

- Attente majeure 3:

Qu'il puisse être intégré dans de nouveaux protocoles y compris dès les premières lignes, notamment pour des malades ayant un pronostic défavorable

- 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 :

La difficulté d'accès par rapport à la distance géographique (éloignement du domicile)

- Crainte principale 2 :

Le temps d'attente entre le prélèvement et le traitement lui-même avec le risque de dégradation de l'état de santé du malade

- Crainte principale 3 :

L'arrivée d'une nouvelle équipe médicale par rapport à l'équipe référente des premiers traitements

- Autres craintes :

La dépendance d'une fabrication dans un pays étranger

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 :** Les constantes simples
- **Type d'information 2 :** Les informations sur leur qualité de vie
- **Type d'information 3 :** Les effets indésirables ressentis

→ **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. ?)**

Donner dès le début du traitement un rôle d'acteur au malade et à son proche aidant. Utilisation d'un système d'accompagnement à domicile et ou à l'hôpital se basant sur un accompagnement humain d'un personnel de santé avec le support d'un système numérique renseigné par le patient lui-même, le personnel de santé. Avec l'accord du malade intégrer si possible son entourage dans ce recueil.

→ **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 ?**

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.

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) ?**

Ce questionnaire a été rempli en s'appuyant sur les résultats de notre enquête 2021(445 malades et 150 aidants interrogés) menée par un organisme spécialisé

- **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 à partir d'échanges avec les malades au sein de l'association, sur les réseaux sociaux dans les discussions au cours des webconférences, au sein du MOOC, lors de notre journée nationale d'information tenue simultanément dans 26 villes, début octobre.

- **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 ?**

Bernard DELCOUR membre CA, laurent GILLOT Président

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

Non

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 :

Les avancées thérapeutiques observées ces dernières pour le myélome sont considérables, pour autant il existe toujours un nombre non négligeable de malades pour qui les traitements actuels sont peu ou pas efficaces, avec pour ces derniers une espérance de vie très limitée. Pour ces malades l'accès à un traitement comme ABECMA est une source d'espoir considérable de pouvoir passer du statut de malade en échec thérapeutique au statut de personne en rémission ayant une qualité de vie fortement améliorée. Les car t cells ne sont peut pas encore la solution amenant la guérison à tous les malades, mais ils nous apparaissent comme un des éléments capitaux pouvant nous y amener.

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts

➔ Souhaitez-vous que cette rubrique soit rendue publique ?

- ☒ Oui
- ☐ Non

10.1 Complément d'information sur votre association ou groupe d'utilisateurs³

➔ Personne contact pour les contributions :

- Nom prénom : DELCOUR Bernard
- Fonction : membre CA Af3m
- Adresse électronique : bernarddelcouraf3m@orange.fr
- Téléphone : 0607359195

➔ Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

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.

Informez, soutenez les malades et leurs proches, journées d'information, groupes de paroles, MOOC, webconférences. Mener toutes les actions nécessaires permettant de faire entendre la parole des malades et des proches : contributions à la rédaction de documents, actions auprès des instances publiques

→ Composition des associations non agréées et nature des groupes d'usagers

Décrivez la composition des instances (conseil d'administration et bureau) : noms des personnes, titres.

10.2 Informations sur le financement de votre structure et autres liens d'intérêts

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine d'un financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), pour l'année en cours et l'année passée.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

→ Budget total de l'association pour l'année passée : 413 000 euros

→ Budget total de l'association pour l'année en cours : 460 500 euros

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2020	Subventions soutiens	236 000 euros	57 %
	Dons adhésions actions bénévoles	176 000 euros	43 %

→ Pensez-vous nécessaire de porter à la connaissance de la HAS d'autres liens qui pourraient constituer un potentiel conflit d'intérêts ?

Remerciements

Nous vous remercions beaucoup pour votre apport et votre temps passé. Ils sont importants. Votre contribution, notamment la synthèse ci-dessus, sera notamment mentionnée oralement lors de la séance de la commission.