

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 : contact.contribution@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 : Association Patients en Réseau – PeR

Adresse du siège* : 15 Rue Gît le cœur, 75006 Paris

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national, association agréée au niveau régional, association non agréée ; groupe de patients ou usagers du système de santé ; autre dénomination de structure

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

L'association « Patients en Réseau » représente :

- 14 060 utilisateurs de nos réseaux privés dont sur 2 370 Mon Réseau Cancer du Poumon
- 27 800 abonnés sur Facebook dont 1 620 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 5 100 abonnés sur Instagram dont 970 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 4 150 abonnés sur Twitter dont 998 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 88 membres adhérents à l'association en 2021

Nous avons proposé un questionnaire qui a été complété par 3 personnes concernées (2 femmes et 1 homme) sur la période du 15 au 25 février 2022.

Profil des répondants :

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

Les répondants ont tous eu connaissance du questionnaire par leur médecin pneumo-oncologue. Ils sont soignés pour un cancer bronchique non à petites cellules depuis 2 à 3 ans. Ces trois personnes ont eu un cancer localisé qui a récidivé. La découverte de leur mutation a été faite dans le cadre d'une recherche large de mutations proposée dans leur centre de soins.

A noter : les verbatim des 3 patients répondants sont présentés en « vert, violet ou bleu et italique ».

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : sauf si souhaitée par la commission et sous réserve de disponibilité

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

Nom commercial* : GAVRETO

Dénomination commune internationale (DCI)* : pralsétinib

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Médicament en accès précoce post-AMM dans le traitement en monothérapie des patients adultes atteints d'un Cancer Bronchique Non à Petites Cellules (CBNPC) avancé présentant une fusion positive de RET (REarranged during Transfection) non précédemment traités par un inhibiteur de RET.

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

Dans le cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC), les fusions du gène RET (REarranged during Transfection) s'observent chez 1 à 2 % des patients, principalement chez les patients atteints d'un adénocarcinome.

Il s'agit donc d'une situation très rare et l'un des enjeux est donc l'accès au testing des patients.

Actuellement, en cas de réarrangement de RET, les recommandations françaises AURA (2021) proposent comme option thérapeutique, l'inclusion dans **un essai clinique ou alternativement une demande d'ATU nominative pour du pralsetinib ou du selpercatinib à partir de la seconde ligne**. Chez les patients ayant une altération d'EGFR, ALK, ROS1, BRAF-V600E pour lesquelles des thérapies ciblées sont disponibles, la prise en charge repose sur des ITK anti-EGFR, anti-ALK et anti-ROS1 dès la 1ère ligne de traitement et à partir de la 2ème ligne pour BRAF-V600E.

A noter qu'en cas de RET positif, **l'immunothérapie n'a pas fait la preuve d'une efficacité** dans ce contexte et que d'après les recommandations NCCN (2021) le taux de réponse serait faible.

A noter que Gavreto a bénéficié d'une autorisation accélérée dans le CBNPC aux USA en septembre 2020 et qu'il bénéficie d'une autorisation de commercialisation avec conditions au Canada, en attendant les résultats d'études permettant d'attester ses bienfaits cliniques.

Nous soulignons le besoin médical important pour les patients concernés et les faisceaux de résultats positifs notamment dans l'essai **ARROW Lung**, avec les résultats d'efficacité chez les patients naïfs de traitement (N = 27) atteints de CBNPC localement avancé ou métastatique exprimant une fusion positive de RET (source RCP Europe) :

- Taux de réponse objective (ORR) (IC à 95 %) : **70 %** (50 % ; 86 %)
- Durée de la réponse (DOR en mois) : **9** (6,3 ; NA)

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 : Dans le cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC), les fusions RET s'observent chez **1 à 2 % des patients** et principalement chez les patients atteints d'un adénocarcinome.
C'est donc un type de cancer du poumon **très rare**
- Argument 2 : **Grave** (évolution très fréquemment **fatale**) avec un **besoin médical important** en l'absence de traitement spécifique. (La chimiothérapie à base de platine est un traitement lourd et difficile en termes de qualité de vie ; l'immunothérapie a une efficacité qui semble très discutable pour ce type de maladie)
- Argument 3 : **Invalidante** : un cancer du poumon métastatique avancé, en l'absence de traitement efficace, est une maladie particulière grave, impactant tous les aspects de la vie et au pronostic sombre.

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

Le diagnostic de cancer du poumon métastatique est un choc majeur et bouleversant, tant pour la personne malade que pour ses proches. Une fois la caractérisation de la maladie faite et les traitements mis en place, le vécu des personnes peut être très différent en fonction de l'efficacité et de la bonne tolérance des traitements reçus.

Notons que les 3 répondants à notre enquête ont tous bénéficié du pralsetinib, voici leurs mots :

« Pour le moment, la maladie n'a pas impacté mon état physique. »

Acceptation de la maladie difficile pour mon conjoint. Nous essayons malgré tout à vivre le plus normalement possible. »

« Je suis plus ou moins capable de vivre « normalement », mais j'ai dû apporter des changements à ma vie quotidienne. »

Avoir un tel diagnostic dans la famille m'a rapproché de mes parents, de mes frères et sœurs. Dans ma famille immédiate, je pense que cela a apporté de l'inquiétude et du stress à mon mari et à ma fille aînée alors qu'ils envisagent les conséquences d'une telle maladie. Mon fils cadet, je crois, essaie de ne pas trop y penser (nous sommes assez proches). Naturellement, c'est une réalité dévastatrice à reconnaître, mais 3 ans et en me battant, j'essaie de refléter la normalité tout en allant de l'avant. »

« Les premiers mois du traitement du cancer sont très éprouvants »

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

« Pour le moment, la maladie n'a pas impacté mon état physique. »

« Physiquement, j'ai des hauts et des bas. Je peux encore faire de l'exercice mais pas au même niveau cardio. »

Mentalement, c'est toujours une lutte, mais je fais de mon mieux pour rester positif avec un esprit de lutte contre la maladie pour être là aussi longtemps que possible pour mes deux enfants adolescents ».

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

NA

– **Activités de la vie quotidienne :**

« RAS juste arrêt de travail »

« Naturellement, afin de lutter contre la maladie, vous apportez des changements dans vos habitudes alimentaires (moins ou pas d'alcool, manger plus sainement). J'ai commencé à boire du lait de soja, à manger moins de viande rouge (difficile à digérer), à faire du jus (faire du jus à partir de fruits et légumes crus). »

– **Mobilité/déplacement :**

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

« Pour le moment je suis en congé longue durée mais je pense que je pourrai peut-être reprendre le travail. Je n'arrive pas à évaluer la fatigue éventuelle dans ce cas. »

« J'ai pris congé quand j'ai eu une chimiothérapie (2 fois, à chaque fois 6 séances), mais je suis retournée travailler à temps plein par la suite.

Aujourd'hui, je travaille toujours à temps plein, mais j'ai choisi de réduire mes responsabilités (poste inférieur) pour compenser et avoir moins de stress. »

« J'ai continué à travailler mais c'était très éprouvant »

– **Vie affective :**

« L'impact émotionnel sur mes enfants n'a pas changé du tout. J'ai les mêmes sentiments émotionnels envers eux et je montre probablement trop d'émotion parfois car je veux qu'ils sachent à quel point je les aime. »

– **Vie sexuelle :**

« Moins de désir »

« L'impact émotionnel envers mon mari, je dois l'admettre, a beaucoup changé. Sexuellement, j'ai perdu tout désir. Mon corps et mon esprit font face à tant d'autres choses, que le désir sexuel est devenu inexistant. Pour moi, la partie émotionnelle d'une relation est fortement liée à la partie sexuelle ; si la libido est faible, les émotions changent aussi... »

« Je n'ai plus de relations amoureuses depuis le début de ma maladie. »

– **Vie sociale :**

« Socialement, cela n'a eu aucun impact. Je sors toujours, je vois mes amis, je voyage, etc. »

– **Autres aspects :**

Impacts psychologiques :

« Difficultés à me projeter sur le long terme »

« J'ai des hauts et des bas. Vous pouvez toujours faire de votre mieux pour être fort mentalement et optimiste, mais quand votre corps se sent comme de la merde, quand il fait froid et que le soleil refuse de sortir, votre état mental et votre moral peuvent être à leur plus bas. Je sais ce qui motive ma positivité et me remonte le moral. Je fais donc de mon mieux pour rester guidé dans cette direction.

« J'ai toujours gardé espoir ce qui m'a évité la dépression »

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 :

Source : extrait HAS pour RETSEVMO

Avant la mise à disposition du selpercatinib, en l'absence de traitement ciblant spécifiquement la fusion RET, les traitements utilisés en 2ème ligne et plus dans le cadre du CBNPC avancé ou métastatique dont la tumeur n'a pas d'altération moléculaire ciblable (EGFR, ALK, ROS1) et sans donnée spécifique chez les patients présentant un réarrangement de RET, étaient l'immunothérapie et/ou la chimiothérapie. Actuellement, les recommandations françaises AURA (2021), en cas de réarrangement de RET, propose comme option thérapeutique, l'inclusion dans un essai clinique ou une ATU nominative pour du pralsetinib ou du selpercatinib à partir de la seconde ligne. Chez les patients ayant une altération d'EGFR, ALK, ROS1, BRAF-V600E pour lesquelles des thérapies ciblées sont disponibles, la prise en charge repose sur des ITK anti-EGFR, anti-ALK et antiROS1 dès la 1ère ligne de traitement et à partir de la 2ème ligne pour BRAF-V600E.

Place du médicament :

Option de traitement pour la prise en charge de CBNPC avec fusion RET au stade avancé, après un traitement antérieur par immunothérapie et/ou chimiothérapie à base de platine (en 2ème ligne ou plus).

➔ 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 chimiothérapie est un traitement systémique qui attaque toutes les cellules en division, ce qui entraîne de nombreuses

- Argument 2 : toxicités dont en premier lieu une fatigue invalidante.
L'immunothérapie ne bénéficie pas d'une efficacité probante dans cette indication (source : recommandations AURA2021)
- Argument 3 : Les TKI spécifiques permettent de meilleures réponses et de meilleures survies que les traitements existants (chimiothérapies, immunothérapies)

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

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.

utilisés actuellement

- ➔ 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 :

Une efficacité ressentie avec de possible réponses complètes

« J'ai un cancer du poumon de stade 4. Mon cancer du poumon a été stable, même à un moment donné en rémission ! Je peux honnêtement dire que j'ai profité de la vie comme si je n'avais pas de cancer du poumon ! »

« Plus de tumeur au scanner et PETSCAN ! »

- Amélioration majeure 2 :

Une forme orale a une prise par jour qui permet de retrouver de la liberté dans la vie de tous les jours

« Moins de contraintes, plus de liberté »

« Moins contraignant que la chimiothérapie »

- Amélioration majeure 3 :

Une option thérapeutique qui s'ajoute, c'est une chance de plus de vivre plus longtemps en attendant que la recherche avance et que de nouvelles options thérapeutiques (anti RET de 2ème génération ou autres mécanismes) puissent voir le jour.

- Autres améliorations :

Un des patients a vu son psoriasis disparaître.

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 :

Un ajustement de dose au début du traitement :

« Pour moi, tâtonnement pour trouver le bon dosage, gonflement (œdèmes au niveau des yeux et du visage), petite prise de poids »

- Inconvénient principal 2 :

La Posologie et la durée de traitement

« Prendre 4 pilules tous les jours et ne pas savoir quand cela finirait devenait fatigant »

- Inconvénient principal 3 :

Les effets secondaires : globalement d'apparition rapide (quelques jours ou semaines) et ressentis comme « moyennement » gênants.

Voici ceux qui étaient les moins bien supportés par nos témoins :

→ Œdème du visage, sécheresse cutanée et oculaire, faiblesse musculaire

Pour un des répondants, un ajustement de dose, un arrêt temporaire puis arrêt définitif pour pneumopathie est décrit

« l'effet secondaire majeur que j'ai eu était une accumulation pneumopatique indésirable (taches

noires) sur mes poumons. il s'est amélioré lorsque nous avons réduit la dose, mais est finalement devenu trop dangereux pour que je continue pralsétinib »

- Autres inconvénients :

Attente d'une délivrance en officine de ville pour plus de facilité au quotidien ☺

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'utilisateurs 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 : Hypertension car fait partie des EI à surveiller
 - Type d'information 2 : Apparition ou aggravation d'une toux ; signe d'une pneumopathie ou d'une récurrence
 - Type d'information 3 : Le poids qui peut augmenter ou diminuer

- 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. ?)

Le traitement étant une forme orale nous préconisons une combinaison de recueil : si le patient est autonome et connecté : via un questionnaire en ligne ou application, sinon via un appel téléphonique ou la visite d'une infirmière à domicile.

- 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 ?

Pas de mesure particulière.

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

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.

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 ?** (NB : le PUT-RD ne peut être communiqué qu'à des membres d'associations uniquement s'ils sont habilités à représenter l'association en tant que personne morale)

Pas de PUT transmis.

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) ?**

L'association, dans le cadre de son groupe « Accès précoces et Contributions » a rédigé cette partie en utilisant les ressources à sa disposition : RCP, Échanges réguliers avec médecins experts et patients, Congrès, Recherches web sur sites spécialisés (HAS, INCA).

- **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 ?**

L'association, dans le cadre de son groupe « Accès précoces et Contributions » a rédigé un questionnaire en se basant sur les points abordés dans le questionnaire des associations-access précoces proposé par la HAS. Ce questionnaire a été mis en ligne sur « Mon réseau Cancer du Poumon », la page Facebook de Mon réseau Cancer du Poumon et partagé auprès de plusieurs soignants pneumo-oncologues.

- **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 ?**

Le groupe de travail « Accès précoces et Contributions » de l'association « Patients en Réseau » est constitué de 4 membres et a rédigé les réponses à la contribution

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

Non, l'association n'a reçu aucune aide extérieure.

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 thérapeutiques actuelles sont insuffisantes parce que non-spécifiques à la mutation RET
- Le médicament étudié répond aux besoins et attentes des patients parce qu'il apporte une solution supplémentaire et spécifique dans l'arsenal thérapeutique.

« Je suis reconnaissant d'avoir été diagnostiqué en ce moment compte tenu de tous les progrès qui ont été réalisés au cours de la dernière décennie pour lutter contre le cancer. J'ai l'espoir que je ferai partie des statistiques qui vivent. »

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts (il est obligatoire de renseigner toutes les parties de cette rubrique)

→ 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 : Laure Guérault Accolas
- Fonction : Fondatrice, Directrice
- Adresse électronique : lga@patientsenreseau.fr
- Téléphone : 06 28 28 22 40

→ **Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :**

Lancé en Novembre 2017 par l'association Patients en Réseau, Mon réseau® Cancer du Poumon s'adresse aux personnes touchées par les différents cancers du poumon et leur entourage. Chaque année, ce sont près de 46 000 personnes qui sont confrontées à ces maladies, aux caractéristiques et pronostics diverses et qui les touchent profondément leur équilibre, leurs projets personnels et professionnels. L'image culpabilisante et de mauvais pronostic du cancer du poumon a un retentissement très important au niveau psychique et isole particulièrement malades et proches.

Mon réseau® Cancer du Poumon est un réseau social sécurisé, anonymisé, modéré et gratuit qui favorise le partage et le soutien entre malades ou proches. Il facilite également l'accès aux professionnels et associations de proximité, l'accès à une information utile et fiable, la connaissance des événements, conférences et ateliers de proximité. En raison de la fréquence des cancers du poumon, du développement de l'ambulatoire et des thérapies orales, le besoin de communication reste crucial pour limiter le sentiment d'isolement des patient(e)s. Mon réseau® Cancer du Poumon, c'est un « facilitateur » du parcours à chaque étape de la maladie ! Par cette initiative, l'association Patients en réseau participe à améliorer la qualité de vie ou le mieux-être des patient(e)s et des proches pendant l'épreuve des soins, le vécu avec une maladie métastatique « chronique »,

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.

l'approche de la fin de vie mais aussi la période délicate de l'après-cancer et la reprise du travail (totalement révolutionnaire pour les personnes touchées par un cancer du poumon métastatique !). Le site internet est accompagné d'une application mobile qui s'adapte aux besoins de connexion en mobilité de nos utilisateurs.

La plateforme Mon réseau® Cancer du Poumon compte à ce jour plus de 2 370 utilisateurs dont plus de 920 actifs sur la dernière année. Les pages des réseaux sociaux ouverts « Mon Réseau Cancer du Poumon » font aussi partie de cette dynamique :

- 1620 sur Facebook
- 998 sur Twitter
- 972 sur Instagram

Voici les principaux bénéfices apportés par le réseau :

- Rompre l'isolement des personnes en favorisant le partage
- Se sentir accueilli(e) quel que soit son lieu de vie ou de traitements et à tout moment.
- Favoriser la compréhension de sa maladie et ses traitements, trouver les informations utiles pour traverser et vivre au mieux cette épreuve
- Trouver des adresses pertinentes et de proximité
- Être au courant de ce qui se passe, près de chez soi

L'esprit de Mon réseau® Cancer du Poumon, c'est un réseau en ligne qui permet de revenir au lien concret, à la proximité, pour aider à mieux vivre au quotidien avec la maladie et les soins. Dans la continuité de son objet, l'association Patients en réseau a lancé, en Juillet 2014 Mon réseau® cancer du Sein, en 2019 Mon Réseau® Cancer gyneco et en Juillet 2020 Mon Réseau® Cancer Colorectal.

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

Notre association est récente (2014) et nous entamons une réflexion pour établir un dossier de candidature à l'agrément courant 2022. La composition du conseil d'administration (CA) à ce jour est la suivante :

- Président : Sophie Barbe-Wolffsheim
- Trésorier : Olivier Revel
- Secrétaire : Matthieu Grosfils
- Membre du CA : Olivier Lefevre
- Membre du CA : Josiane Breuille

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 :** Les ressources de l'association Patients en Réseau sont constituées des cotisations et des dons de soutien de ses membres, des dons accordés par nos partenaires industriels et de sociétés privées pour les projets sur le cancer du sein, le cancer du poumon, les cancers gynécologiques et colorectaux. Budget total de l'association pour l'année 2020 : **386 500 €**-
- ➔ **Budget total de l'association pour l'année en cours :** 2021 : en cours de validation par le cabinet d'expertise comptable. En tant que porteur de l'article 51, AKO@dom PICTO, notre association recevra également des fonds de la CPAM Grand Est.

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021	Nous recevons des fonds d'une trentaine de partenaires différents, en respect des recommandations de l'EFPIA et dont aucun ne représente plus de 25% du budget global de l'association		

- ➔ **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.