

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 :

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

L'association Patients en réseau représente :

13 700 utilisateurs de nos réseaux privés dont sur 10 350 Mon Réseau Cancer du Sein

- 28 917 abonnés sur Facebook dont 24 266 sur Mon Réseau Cancer du Sein
- 5 458 abonnés sur Instagram dont 2 389 sur Mon Réseau Cancer du Sein
- 4 108 abonnés sur Twitter dont 2 431 sur Mon Réseau Cancer du Sein
- 88 membres adhérents à l'association en 2021

Nous avons proposé un questionnaire qui a été complété par 8 personnes concernées (7 femmes et 1 homme) sur la période du 5 au 11 février 2022.

Profil des répondants : 3 triple négatif (TNEG) BRCA+, 2 RH+ BRCA+, 2 ne sais pas mais recevant olaparib, 1 non précisé

Mutation BRCA : Pour 4 personnes, la mutation BRCA a été recherchée lors du diagnostic en raison des antécédents familiaux connus, pour les 4 autres, elle a été découverte lors de la caractérisation de la tumeur RH+ ou TNEG (sans antécédent connu au préalable)

A noter :

- seules 2 personnes sont « suivies » dans la prise de ce traitement oral : l'une par des appels réguliers de l'infirmière de coordination, l'autre en bénéficiant d'un programme de suivi « ville hôpital domicile »
- seules 2 personnes ont bénéficié de soins de support (soutien psychologie et kinésithérapeute) (mais les 6 autres auraient été intéressées si on leur avait proposé....)
- les verbatims de patients seront présentés en 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* : LYNPARZA

Dénomination commune internationale (DCI)* : Olaparib

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

le traitement adjuvant des cancers du sein précoce à haut risque HER2 négatif et muté BRCA.

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

La découverte d'une mutation germinale BRCA est pour la patiente et ses proches un véritable bouleversement. Les mutations BRCA engendrent un risque documenté et augmenté de récurrence de cancer du sein et de prédisposition à un autre cancer du sein ou à un cancer de l'ovaire.

Cette épée de Damoclès bien réelle peut avoir un impact psychologique très lourd : peur et angoisse d'une récurrence ou d'un nouveau cancer pour soi-même, peur et culpabilité d'avoir pu transmettre ce gène à sa descendance, peur pour ses proches (sœurs, cousines, frères, cousins...) qui pourraient aussi être

concernés... angoisse d'une malédiction familiale... tout cela impacte profondément les projets de vie, la capacité à se projeter, à avancer dans sa vie personnelle et professionnelle, dans la construction de la famille.

Pour une personne touchée par un cancer du sein localisé, afin de réduire ce risque de récurrence ou de nouveau cancer, les soignants peuvent être amenés à proposer des chirurgies préventives particulièrement lourdes : mastectomie bilatérale, ablation des ovaires.

La possibilité de proposer une thérapeutique ciblée pour réduire le risque de récurrence ou de nouveau cancer est donc extrêmement utile pour proposer et enrichir le suivi de ces patient.es à risque élevé.

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 cancer du sein lié à une mutation BRCA est particulièrement grave et a un risque d'évolution défavorable
- Argument 2 : Le risque de récurrence ou d'un nouveau cancer (sein /ovaire) augmente pour ces personnes avec le temps
- Argument 3 : Les chirurgies préventives ont un impact majeur sur l'intégrité de la personne et l'estime de soi, le fait d'être bien dans son corps, le sentiment de perte de féminité (ablation des seins et des ovaires), un impact majeur sur la vie intime. Pour les hommes, s'ajoute à la lourdeur des chirurgies et traitements, le sentiment étrange et inconfortable d'avoir une maladie « de femme ».

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

A ce stade, les impacts sur la qualité de vie des personnes sont surtout de l'ordre moral et psychique :

« La vie est stoppée, il faut reprendre en étant différente »

« Peur de mourir »

« Je suis devenue irritable »

– Fatigue intellectuelle ou physique :

« Rythme ralenti, abandon de certaines activités à cause de la fatigue »

« Fatigue et sommeil agité »

« Douleurs, fatigue, sommeil, mobilité, dépression »

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

NA

- **Activités de la vie quotidienne :**

Pas de retour particulier

- **Mobilité/déplacement :**

Pas de retour particulier

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

Les personnes en activité professionnelle ont été arrêtées pendant les traitements hospitaliers.

Par la suite avec olaparib :

Pour 4 personnes, le travail a été de nouveau possible : *« pas d'impact pour l'une, reprise du travail à mi-temps, Reprise du travail en fin de traitement et Changement de travail »*

Pour l'une *« Passage en invalidité »*, les 3 autres personnes ne travaillent pas ou plus.

- **Vie affective :**

« Vie mise entre parenthèse »

« Perte de libido »

« Néant... »

« Difficile de se sentir féminine auprès son conjoint perte de cheveux, mastectomie, assèchement vaginal.... »

Une seule personne décrit ne pas avoir d'impact sur ce plan

- **Vie sexuelle :**

Cf vie affective

- **Vie sociale :**

- **Autres aspects :**

- *« Difficile de se projeter »* est décrit pour 4 répondants

- *« Moral plutôt bon mais on ne se projette plus très loin »*

- *« Je suis très entouré, cela m'aide à combattre la déprime. »*

- Une seule personne décrit *« peu d'impact »*

-

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 :

Le traitement du cancer du sein HER2 négatif comporte essentiellement la chirurgie, la chimiothérapie, la radiothérapie et l'hormonothérapie en adjuvant si la tumeur est RH+

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

- Argument 1 : Les traitements actuellement proposés n'ont pas d'efficacité spécifique sur la mutation BRCA
- Argument 2 : Il y a une nécessité de réduire le risque de récurrence métastatique ou de nouveau cancer pour ces personnes particulièrement à risque en raison de leur mutation BRCA
- Argument 3 : Une option médicamenteuse en plus des chirurgies préventives permettrait d'enrichir les options de réduction de risque, donner plus d'alternatives dans le temps pour un suivi et une réduction des risques, facilitant une décision partagée et le sentiment d'alléger l'« épée de Damoclès »

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 :

Voici quelques verbatims :

« Continue le nettoyage, conforte le traitement, sécurise »

« La lutte contre l'action négative de la mutation génétique »

- Amélioration majeure 2 :

« La prise à la maison, le peu d'effets secondaires »

- Amélioration majeure 3:

Le plan de prise est compréhensible.

Le fait d'avoir 4 comprimés à prendre, permet le cas échéant, d'adapter la dose facilement.

- Autres améliorations :

C'est « un arme de plus »

En termes de qualité de vie avec le traitement olaparib, 2 personnes la décrivent comme « bonne » et 6 comme « assez bonne ».

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 :

Les principaux effets indésirables que les personnes ont attribué à olaparib sont :

Fatigue, nausées, maux de tête, perte de goût, vertige, éruption cutanée, perturbation du bilan sanguin, perturbation du bilan hépatique

Plusieurs personnes n'en décrivent aucun

A la question « quel est l'effet indésirable que vous supportez le moins » on retrouve : fatigue, nausée et vertige

A la question : les effets indésirables que vous attribuez à olaparib vous ont-ils gênés dans votre quotidien ? : tous les répondants ont choisi « moyennement »

- Inconvénient principal 2 :

« Heures à respecter pour la prise du médicament, intervalle entre les repas »

« Le respect de la plage horaire pour la prise du médicament »

Ceci semble une vraie contrainte dans le quotidien.

- Inconvénient principal 3 :

- 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 :

- 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 :** Renseigner les principaux effets indésirables ressentis
- **Type d'information 2 :** Renseigner la prise du médicament (et si non, pourquoi) , une éventuelle adaptation de dose, un arrêt temporaire ou définitif
- **Type d'information 3 :** Renseigner les principaux critères de qualité de vie et particulièrement l'impact psychologique

→ **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

→ **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'utilisateurs. 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)

Non

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 : 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 Sein », la page Facebook de Mon réseau Cancer du Sein et proposé à d'autres associations (Triplettes, BRCA France, Europa Donna : 1 seule répondante a été informée par une autre association).

- **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 plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont liées au sur-risque de récurrence et de nouveau cancer (sein /ovaire) lié à la mutation BRCA
- Les thérapeutiques actuelles sont inadéquates parce que non spécifiques à la mutation BRCA
- Le médicament étudié répond aux besoins et attentes des patients parce qu'il apporte une solution de plus en plus chirurgicale pour réduire le risque de récurrence ou de nouveau cancer lié à la mutation BRCA
- **Le médicament étudié participe à réduire l'impact psychologique de la mutation génétique BRCA et le poids de l'épée de Damoclès ressenti particulièrement par ces malades**

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.