

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 : ENSEMBLE LEUCÉMIE LYMPHOMES ESPOIR (ELLYE) |

Adresse du siège* : 1 avenue Claude Vellefaux- 75475 Paris cedex 10 - France |

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 :

| 2127 adhérents à jour de cotisation

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

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : _____

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

Nom commercial* : Yescarta

Dénomination commune internationale (DCI)* : axicabtagene ciloleucel

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Yescarta est indiqué dans le traitement des patients adultes atteints de lymphome folliculaire en rechute ou réfractaire, après au moins trois lignes de traitement systémique.

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

L'indication nous paraît pertinente. On peut néanmoins regretter que les lymphomes de la zone marginale, formes relativement rares de lymphomes non hodgkiniens (environ 12 % de l'ensemble des LNH), ne soient pas inclus dans l'indication demandée, alors que l'étude ZUMA 5 incluait également ce sous-type de lymphome.

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 lymphome folliculaire n'est pas particulièrement rare (environ 25% de l'ensemble des lymphomes non hodgkinien). Il s'agit d'un lymphome indolent, à évolution lente.

Si la plupart des patients sont toujours en rémission 10 à 15 ans après le diagnostic, la réponse peut être beaucoup plus courte (rechute précoce dans les 2 ans) et certaines tumeurs sont résistantes aux traitements standards par immunochimiothérapie. **Les rechutes sont fréquentes et la tumeur acquiert une résistance croissante aux agents thérapeutiques. Les lymphomes folliculaires réfractaires ou en rechute après trois lignes de traitement systémiques sont donc beaucoup plus difficiles à soigner.**
- Argument 2 :

Ce cancer est encore considéré comme incurable.

- Argument 3 : Le caractère invalidant de la maladie augmente avec les lignes de traitement successives, qui exposent les patients à de nombreux effets indésirables et nuisent à leur qualité de vie (voir réponse à la question 4).

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

L'impact de la maladie sur la qualité de vie des proches est difficile à mesurer car les proches ayant répondu à l'enquête sont peu nombreux (15 % v/ 85 % de patients). Néanmoins, plusieurs des patients ayant répondu indiquent que la qualité de vie de leurs proches a été affectée : « Perte de la qualité, diminution de la vie sociale pour me protéger ».

– Fatigue intellectuelle ou physique :

La fatigue est le principal symptôme, dont se plaignent 78 % des patients interrogés. Plusieurs patients indiquent que cette fatigue est aussi bien physique qu'intellectuelle : « Manque de concentration plus trouble de la mémoire et fatigue physique », « pertes cognitives, asthénie ».

Il s'agit d'un symptôme durable puisque 79 % des personnes interrogées disent en avoir souffert pendant plus de 2 ans, sachant que pour 21 % des patients cette sensation de fatigue a duré plus de 8 ans.

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

N/A

– Activités de la vie quotidienne :

Pour 67 % des patients interrogés, la maladie a eu un impact sur les activités de la vie quotidienne (capacité à faire ses courses, activités ménagères, activité physique, etc.). Plusieurs patients expliquent que ces activités sont devenues « dures » ou « difficiles », certains faisant le lien avec une « fatigue extrême ».

– Mobilité/déplacement :

|

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

53 % des patients interrogés n'avaient plus d'activité professionnelle en raison de leur âge (retraite).

L'impact de la maladie sur la vie professionnelle des patients semble très variable d'une personne à l'autre, puisque 33 % des patients interrogés indiquent que la maladie et les traitements ont eu un impact sur leur vie professionnelle, alors que 40 % déclarent le contraire. Cela se traduit essentiellement, pour les personnes concernées, par des arrêts de travail, une mise en invalidité / longue maladie ou le passage d'un plein-temps à un mi-temps. 11 % des patients interrogés déclaraient avoir cessé de travailler en raison de la maladie.

– Vie affective :

Pour un répondant sur deux (49 %), la vie affective et familiale semble peu ou pas affectée par la maladie. Néanmoins, 33 % indiquent un impact plus ou moins important.

– Vie sexuelle :

Sauf exception, la vie sexuelle des patients est très affectée par la maladie et les traitements. Ci-après quelques verbatim significatifs : « Néant pendant 2 à 3 ans, impossible d'être en érection », « Diminution de la libido, irritabilité », vie sexuelle « entre parenthèses ».

– **Vie sociale :**

52 % des répondants indiquent que la maladie a eu un impact négatif sur leur vie sociale, même si les expériences individuelles et les témoignages sont très différents d'une personne à l'autre : « Très bien entouré, j'ai gardé le contact avec de nombreux collègues. », « J'évite les contacts hors de ma bulle vu ma baisse d'immunité... ».

– **Autres aspects :**

Le lymphome folliculaire est caractérisé par de fréquentes rechutes, que ce soit à brève ou longue échéance. Sans surprise, **63 % des patients interrogés disent donc craindre une rechute de leur lymphome** et 43 % une progression de la maladie. Cela a un impact important sur leur bien-être psychologique : **40 % des patients interrogés souffrent d'anxiété et 30 % de dépression.**

Les arrêts de travail de moyenne ou longue durée ont également un impact sur les revenus des patients : « Diminution de mes revenus car je suis en maladie longue durée ».

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 :

Plusieurs traitements sont possibles en cas de rechute d'un lymphome folliculaire. Le choix du traitement est notamment déterminé en fonction du délai de survenue de la récurrence depuis l'instauration des premiers traitements, de l'état de santé général du patient, de la masse tumorale et de la réponse du patient aux traitements précédents.

Le nouveau traitement est souvent une immunochimiothérapie. Cependant, une chimiothérapie seule, une immunothérapie seule ou une thérapie ciblée peuvent être proposées. Dans certains cas, notamment lorsque la rechute s'est produite dans les deux à trois ans qui suivent la fin du premier traitement, une autogreffe de cellules souches peut être envisagée. C'est toutefois un traitement lourd, qui ne peut être proposé qu'aux patients jeunes (sachant que l'âge médian au moment du diagnostic de lymphome folliculaire est de 65 ans), ayant peu de comorbidités, dont l'état de santé général est bien conservé et qui répondent bien à la chimiothérapie.

Le traitement proposé à partir de la troisième ligne dépend des lignes antérieures reçues. Les principales options thérapeutiques sont les traitements déjà disponibles à la première rechute : rituximab + bendamustine, rituximab + GEMOX (gemcitabine + oxaliplatine), rituximab + lénalidomide, thérapie ciblée. Les patients adultes en rechute ou réfractaire après deux lignes de traitement ou plus peuvent également bénéficier du traitement par cellules CAR-T Kymriah, effectivement disponible en ATU de cohorte depuis octobre 2021.

Toutes les personnes interrogées sur les bénéfices des traitements par chimiothérapie ou immunochimiothérapie indiquent une rémission totale ou partielle de 1 à 10 ans. L'un des patients, qui avait bénéficié d'une première rémission pendant 10 ans, témoigne en revanche de la résistance de la tumeur à un nouveau traitement par immunochimiothérapie. Quant aux 4 patients traités par autogreffe, 2 indiquent une rémission rapide, alors qu'un troisième fait part d'un échec du traitement.

Les effets indésirables listés par les patients traités par chimiothérapie ou immunochimiothérapie sont très similaires d'un répondant à l'autre : perte de cheveux, nausées et vomissements, grande fatigue, ménopause et grosses perturbations hormonales, baisse des plaquettes, affaiblissement du système immunitaire. Pour les patients ayant subi une autogreffe s'y ajoutent : les douleurs (ayant nécessité pour l'un d'entre eux une pompe à morphine) et le séjour prolongé en chambre stérile, très éprouvant physiquement comme psychologiquement. |

➔ **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 plupart des traitements du lymphome folliculaire aujourd'hui disponibles permettent de contrôler la maladie et d'induire une rémission partielle ou complète plus ou moins longue, mais ils ne permettent pas de guérison définitive. On parle parfois de « chronicisation de la maladie ».

Les greffes allogéniques à visée curative sont rares (aucun des patients ayant répondu à l'enquête n'en a bénéficié) et uniquement proposées à certains jeunes patients avec un profil à risque élevé, en raison de leur forte toxicité et des risques importants qu'elles présentent.

- Argument 2 :

Les options de traitement chez les patients qui rechutent de façon précoce et répétée après différentes lignes de traitement à base de médicaments différents sont encore très limitées.

- Argument 3 :

Le traitement par cellules CAR-T Kymriah, disponible en ATU de cohorte depuis octobre 2021, est néanmoins susceptible de constituer une option

de traitement adaptée pour les patients atteints de lymphome folliculaire en rechute ou réfractaire, après plusieurs lignes de traitement systémique.

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 :

Seuls trois des patients ayant répondu à l'enquête avaient été traités par Yescarta. En effet, l'essai clinique Zuma 5 ne comptait que 2 centres en France ajoutés tardivement à l'étude, qui n'ont recruté que peu de patients. En outre, pour l'un des répondants, l'injection des CAR-T était très récente (moins d'un mois avant sa réponse au questionnaire) et il n'était donc pas en capacité de répondre à la question sur les bénéfices du traitement.

Le seul témoignage exploitable est celui d'un patient diagnostiqué en 2009, traité par chimiothérapie puis autogreffe, et ayant reçu l'injection de cellules CAR-T en 2019, soit il y a 3 ans, qui écrit « Je me sens mieux. Ma vie a changé. »

- Amélioration majeure 2 :

.

- Amélioration majeure 3 :

- 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 :

Les effets indésirables mentionnés par les répondants sont les suivants : vomissements, fièvre et perte des cheveux, la fièvre étant considérée par l'un des répondants comme un inconvénient spécifique par rapport aux traitements précédemment reçus. Un autre répondant a indiqué n'identifier aucun inconvénient par rapport aux traitements actuels. Enfin, selon le troisième : « Le traitement est costaud mais il y a des résultats ».

- Inconvénient principal 2 :

- 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 :

La principale attente des patients par rapport à ce nouveau traitement est la guérison définitive, puisqu'il n'existe pour l'instant aucun traitement curatif dans le lymphome folliculaire.

- Attente majeure 2 :

La seconde attente majeure, en l'absence de guérison, est une réponse métabolique complète qui se maintienne le plus longtemps possible chez une majorité de patients.

- 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 :

Le principal problème mis en évidence par les essais cliniques est une neurotoxicité importante (19 % des patients ont souffert d'effets indésirables neurologiques de grade 3 à 4), qui peut avoir un impact sur la qualité de vie des patients à moyen-long terme.

- 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 : [Mesure quotidienne de la fatigue physique et intellectuelle sur une échelle de 0 à 10.
- Type d'information 2 : [Sensations d'engourdissement, picotements ou sensation de brûlure dans les mains ou les pieds ; douleurs ; sensations inhabituelles comme une chaleur ou une impression de brûlure quand vous touchez quelque chose de froid afin de mesurer le développement d'éventuelles neuropathies.
- Type d'information 3 : [

- 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 recueil par le patient à domicile, si possible avec l'aide d'un proche, avec la possibilité d'interroger un soignant par téléphone paraît la modalité la plus adaptée. Le recueil à l'hôpital, en raison du stress que cela peut générer, du peu de temps disponible lors des consultations et de la présence parfois intimidante du médecin risque d'altérer le recueil des données de qualité de vie.

- **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 ?**

Non

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 ?**

Pourquoi les patients éligibles à un essai clinique ne seraient-ils pas éligibles à l'accès précoce au Yescarta (p. 15 du PUT-RD) ? Par ailleurs, plusieurs passages insuffisamment clairs devraient être précisés et/ou reformulés. Ils ont été indiqués par des notes dans le PUT-RD lui-même.

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) ?**

La première source d'information sont les résultats de l'enquête 2020 de la Lymphoma Coalition sur l'expérience des patients souffrant d'un lymphome ou d'une LLC. Seules les réponses des patients souffrant d'un lymphome folliculaire en rechute ou réfractaire (57 patients pris en charge en France) ont été utilisées pour rédiger cette contribution. Les réponses provenant de l'ensemble du monde (377) ont uniquement été utilisées pour vérifier qu'il n'y avait pas de différence notable par rapport aux réponses des patients français.

Un questionnaire en ligne (SurveyMonkey) a également été diffusé via un mailing aux hématologues des centres habilités à traiter les patients par cellules CAR-T, via le forum de France Lymphome Espoir et via les réseaux sociaux, principalement Facebook et Twitter. Les données utilisées ont été collectées entre le 08/02/2022 et le 16/02/2022. 15 patients (et proches) atteints d'un lymphome folliculaire en rechute ou réfractaire y ont répondu.

→ **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 ?**

ELLYE a écrit aux hématologues des centres ayant inclus des patients dans l'essai ZUMA 5 pour leur demander d'inviter leurs patients traités par Yescarta à répondre au questionnaire en ligne (SurveyMonkey), qui comportait une section consacrée aux patients ayant reçu cette molécule.

Nous nous sommes également entretenus avec l'un des hématologues ayant participé à l'étude ZUMA 5.

→ **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 ?**

Charlotte Roffiaen, Responsable du plaidoyer d'ELLYE

Guy Bouguet, Président d'ELLYE

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

Aucune en dehors des données qui nous ont été fournies par la Lymphoma Coalition.

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 :

- La fatigue physique et mentale, dont se plaignent 78 % des patients interrogés. Il s'agit d'un symptôme durable puisque 79 % des répondants en ayant souffert disent que cela a duré plus de 2 ans.
- Crainte d'une rechute : le lymphome folliculaire est caractérisé par de fréquentes rechutes, parfois même 10 ans après le premier traitement. Sans surprise, 63 % des patients interrogés disent donc craindre une rechute de leur lymphome et 43 % une progression de la maladie. Cela a un impact important sur leur bien-être psychologique : 40 % des patients interrogés souffrent d'anxiété et 30 % de dépression
- Pour 67 % des patients interrogés, la maladie a eu un impact sur les activités de la vie quotidienne (capacité à faire ses courses, activités ménagères, activité physique, etc.). Plusieurs patients expliquent que ces activités sont « dures » ou « difficiles », certains faisant le lien avec une « fatigue extrême ».
- 52 % des répondants indiquent que la maladie a eu un impact négatif sur leur vie sociale, même si les expériences individuelles et les témoignages sont très différents d'une personne à l'autre.

- *Sauf exception, la vie sexuelle des patients est très affectée par la maladie et les traitements. Ci-après quelques verbatim significatifs : « Néant pendant 2 à 3 ans, impossible d'être en érection », « Diminution de la libido, irritabilité », vie sexuelle « entre parenthèses ».*

*Les traitements du lymphome folliculaire aujourd'hui disponibles permettent de contrôler la maladie et d'induire une rémission partielle ou complète plus ou moins longue, mais ils ne permettent pas de guérison définitive. Si la plupart des patients sont toujours en rémission 10 à 15 ans après le diagnostic, la réponse peut être beaucoup plus courte (rechute précoce dans les 2 ans) et certaines tumeurs sont résistantes aux traitements standards par immunochimiothérapie. **Les rechutes sont fréquentes et la tumeur acquiert une résistance croissante aux agents thérapeutiques.** Les lymphomes folliculaires réfractaires ou en rechute après trois lignes de traitement systémiques sont donc beaucoup plus difficiles à soigner.*

La principale attente des patients souffrant d'un lymphome folliculaire, a fortiori en rechute ou réfractaire, est la guérison, ou au moins une rémission complète la plus longue possible. S'il est encore trop tôt pour savoir si le Yescarta permet une véritable guérison, le maintien d'une réponse complète après 2 ans chez deux tiers des patients est un résultat très encourageant chez des personnes lourdement traitées (au moins 3 lignes de traitement systémique), ayant développé une résistance aux traitements standards et pour lesquelles les options de traitement sont aujourd'hui limitées.

Le principal inconvénient du traitement mis en évidence par les essais cliniques est une neurotoxicité importante (19 % des patients ont souffert d'effets indésirables neurologiques de grade 3 à 4), qui peut avoir un impact sur la qualité de vie des patients à moyen-long terme.

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.