

# 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](mailto: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](mailto: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\*<sup>1</sup> : 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 :

- 14 500 utilisateurs de nos réseaux privés dont 10 600 sur Mon Réseau Cancer du Sein
- 29 300 abonnés sur Facebook dont 24 425 sur Mon Réseau Cancer du Sein
- 5 800 abonnés sur Instagram dont 2 514 sur Mon Réseau Cancer du Sein
- 4 240 abonnés sur Twitter dont 2 476 sur Mon Réseau Cancer du Sein
- 88 membres adhérents à l'association en 2021

**Nous avons proposé un questionnaire qui a été complété par 14 patients concernées sur la période du 14 au 30/03/2022.**

Profil des répondants :

<sup>1</sup>Les critères suivis d'un astérisque sont à remplir obligatoirement.

- 7 ont entre 35 et 54 ans, 6 entre 55 et 64 ans et 1 plus de 65 ans
- 6 habitent à la campagne et 8 en ville moyenne ou grande ville
- leur prise en charge se fait en CHU/CH pour 6 patients, CLCC pour 4 et Clinique pour 4
- le diagnostic de la maladie métastatique des répondants a été réalisé de 2014 à 2021
- 8 ont un cancer métastatique RH+/HER2+ , 4 RH-/HER2+
- l'accès au traitement s'est fait par ATU ou accès précoce pour 4 patients, dans le cadre d'un essai clinique pour 1 et lors de consultation de suivi pour 4
- le trastuzumab déruxécane est le traitement de 3ème ligne pour 6 patients et de 2de ligne pour 2 , les autres ne savent pas
- 7 patients le reçoivent depuis moins de 6 mois dont l'une vient d'avoir sa 1ère injection
- 6 patients le reçoivent depuis plus de 6 mois dont l'une depuis plus de 18 mois dans le cadre d'un essai clinique

A noter : *Leurs verbatims sont entre guillemets et en italique bleu dans cette contribution.*

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\* : ENHERTU

Dénomination commune internationale (DCI)\* : **trastuzumab déruxécane**

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

**Traitement des patients adultes atteints d'un Cancer du sein HER2+ non résécable ou métastatique ayant reçu au préalable une ligne de traitement anti-HER2.**

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

Epidémiologie

Le cancer du sein est le cancer **le plus fréquent** chez la femme : il représente selon l'Institut national du cancer **33 % des cas de cancers féminins**. Il touche aussi **les hommes** à hauteur de **1%**.

**En 2018, environ 58 500 nouveaux cas de cancer du sein** ont été diagnostiqués en France. Cette maladie est encore responsable de plus de **12 100 décès** cette même année (derniers chiffres publiés par l'INCA).

En situation métastatique, le cancer du sein avec surexpression de HER2 représente environ 20 % \* des cas de cancer du sein . La médiane de survie\* en 1ère ligne est estimée à 4/5 ans chez les patientes dont l'âge médian est de 53 ans. ( \*source avis conditionnel en date du 16/06/2021 Commission de la transparence HAS sur ENHERTU).

HER2+ est une protéine tyrosine kinase réceptrice de croissance exprimée à la surface de nombreux types de tumeurs, notamment des cancers du sein, de l'estomac, du poumon et colorectal.

Plus d'options thérapeutiques sont nécessaires afin de ralentir la progression et augmenter la survie des patients dont la maladie est métastatique notamment pour les personnes concernées par des métastases cérébrales.

**Schéma thérapeutique**

Selon les référentiels européens et français, le traitement de 1ère ligne du cancer métastatique HER2+ est une combinaison de deux anti HER2 : trastuzumab et pertuzumab associés à la chimiothérapie à base de

taxane ( docétaxel ou placlitaxel). La seconde ligne de traitement est le trastuzumab emtasine (Kadcyla) administré par voie sous cutanée tous les 21 jours en hospitalisation de jour.

### Statut réglementaire

**Des accès précoces ont déjà été évalués pour cette indication et accordés en France il y a moins d'un an** : une ATU nominative a été octroyée le 16/02/2021, une ATU de cohorte a été accordée le 24/06/2021 et a débuté le 4/08/2021.

Le 6 janvier 2022, l'EMA a donné une AMM conditionnelle.

Source : EPAR et PUT de l'ATU de cohorte (consulté sur les sites de l'EMA et l'ANSM)

**Un avis conditionnel de la commission de transparence de la HAS en date du 16/06/2021** sur un remboursement en monothérapie de cette spécialité dans le traitement des patients adultes ayant un cancer du sein HER2 positif non résécable ou métastatique ayant reçu préalablement au moins deux lignes de traitement anti HER2.

## 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 :

Nombre de patientes touchées en France :

Les patients touchés par un cancer du sein HER2+ métastatique ayant déjà eu une ligne de traitement sont estimés à environ 1835\*

*\*source avis commission transparence HAS du 24/03/2021 sur le Phesgo*

Argument 2 :

La surexpression de la protéine HER2 peut résulter de l'amplification du gène HER2 et est souvent associée à **une maladie agressive et à un mauvais pronostic** dans le cancer du sein si la maladie échappe aux traitements anti-HER2 accessibles.

Malgré un traitement initial par trastuzumab et un taxane, les patientes atteintes d'un cancer du sein métastatique HER2 positif voient souvent leur maladie progresser.

Argument 3 :

**Invalidante** : De plus, on estime que 30 à 50 % des patients développeront des métastases cérébrales et, bien que la disponibilité accrue des thérapies anti-HER2 ait amélioré le contrôle de la maladie systémique, le pronostic après **le développement de métastases cérébrales reste très défavorable**.

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

**Le diagnostic de cancer du sein 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.

Des patients ont la chance d'avoir un entourage aidant alors que d'autres se trouvent isolés. Le diagnostic de la maladie métastatique renforce cet isolement, et aussi le fait de ne pas causer du souci ou ne pas se plaindre.

*"Beaucoup d'inquiétude mais ils font attention à moi . Modification totale de la vie se couple ...difficile"*

*"Beaucoup plus de travail à la maison pour mon conjoint (repassage, nettoyage..), plus aucuns contacts avec mes collègues, beaucoup d'amis se sont éloignés, mais les vrais amis sont toujours présents."*

*"Is ont du mal à comprendre ce mal être"*

*"Peine colère peur anxiété"*

*"Ils me plaignent tous sans me le dire"*

*"Inquiétude et stress"*

*"On s'adapte et on apprend à vivre avec ( le plus dur étant de vivre avec et l'acceptation)"*

*"J ai de la chance d'avoir du soutien et de la compréhension. La maladie est source d'angoisse pour la famille"*

*"Moins de sorties avec mon conjoint, plus de vie sexuelle, plus de vacances avec mes grands enfants, moins de visites à mes parents et ma famille qui sont éloignés"*

*"Peu de personnes au courant"*

*"Même s'il y a eu des améliorations, le cancer du sein métastatique est très peu connu, rarement évoqué dans les media, ce qui renforce l'impression d'être invisible."*

### Fatigue intellectuelle ou physique :

La fatigue, l'épuisement sont les effets indésirables les plus prégnants pour les patients qui ont répondu à l'enquête. Cette fatigue a des répercussions sur les fonctions intellectuelles et physiques.

« *Fatigue, douleurs articulaires,*

« *Perte de mobilité du bras droit,*

« *Douleurs musculaire. Grosse fatigue, perte du sommeil, perte d'autonomie et de forte dépression, ne plus se sentir utile pour les autres.*

« *Fatigue perte appétit mal de cœur*

« *Douleur , fatigue , manque de sommeil et perte d autonomie*

« *Je suis épuisée, j'ai des douleurs musculaires et articulaires ainsi qu'abdominales. Je souffre de neuropathies.*

« *Fatigue importante impact sur le sommeil et le travail*

« *Fatigue, insomnies, douleurs articulaires et musculaires*

« *Douleurs lors d'apparition ou amplification de métastases (osseuses notamment), fatigue extrême, nausées, perte de poids, perte d'autonomie par rapport à la mobilité*

« *Fatigue et douleur au ventre gastro souvent*

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

NA

### Activités de la vie quotidienne :

**La vie quotidienne des patients est très impactée du fait de la maladie et des traitements successifs.**

« *Déplacement plus difficiles,*

« *Perte appétit sécheresse cutanée constipation ne peux plus conduire ne peux plus travailler difficultés dans la vie quotidienne dues à la perte de l'usage de mon bras droit*

« *Plus de travail, coupé des autres, fatigue quotidienne qui m empêche de me déplacer normalement.*

« *Difficulté à me laver seule et à préparer mes repas*

« *J e ne travaille plus, j'ai de plus en plus de difficultés pour entretenir mon domicile...*

« *J'ai du dégoût pour certains aliments...*

« *Prise de poids, ménopause anticipée, humeur, trouble sommeil et attention*

« *Moins de sorties, moins de marches, manque de confiance en soi*

« *Alimentation plus restreinte après les chimios à cause des nausées, hygiène des mains et pieds, déplacements plus difficiles et restreints à cause de l'épuisement et/ou douleurs, manque de concentration donc évite de conduire...*

« *Je fais attention à ce que je mange car sinon je vais souvent aux toilettes,,fatigué plus rapidement*

### Mobilité/déplacement :

Des patients nous font part de leur prise ou perte de poids qui leur cause alors des difficultés pour se mouvoir. Mais aussi pour certains l'impossibilité de conduire.

« *Moins de sorties, moins de marches, manque de confiance en soi*

« *Fatigue douleurs perte de l'usage de mon bras droit impossibilité de conduire*

« *Déplacement difficiles*

« *Ma colonne qui est fracturée je dois faire une intervention chirurgicale*

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

Seule un patient est en activité professionnelle. Les autres patients nous font part de leur difficulté à se maintenir dans leur emploi : ils n'ont pas pu reprendre ou ont été mis en invalidité. Cela engendre des difficultés financières.

« *Niveau de concentration affaibli dû à la fatigue*

« Fatigue douleurs perte de l'usage de mon bras droit impossibilité de conduire donc ne peux plus travailler depuis 2 ans, je suis professeur des écoles, cette année je suis en disponibilité et l'année prochaine je serai sûrement en retraite invalidité donc grosse perte financière  
"Plus de travail donc de gros soucis financiers. Je veux absolument retravailler mais c'est très difficile de reprendre un emploi quand on est malade. Très dur également de se concentrer.  
"Impossible de suivre une conversation et de me concentrer  
"Concentration et effort physique plus difficile  
"Arrêt total de la vie professionnelle (invalidité 2), moins de vie sociale à cause de la fatigue, fatigabilité et problèmes de concentration  
"J'ai l'impression de perdre un peu la mémoire obligé de réfléchir plus

#### Vie affective :

Les situations sont bien entendues uniques en fonction des couples, globalement c'est un sujet à aborder car, si la vie personnelle s'effondre, c'est une douleur de plus à laquelle il faut faire face en plus de la maladie et des traitements parfois mutilants... n'oublions pas les personnes célibataires, veufs/veuves ou divorcées qui font face à des difficultés importantes alors qu'elles sont seules au quotidien.

« Plus aucune vie affective  
« Pas de vie sexuelle "active" mais beaucoup de câlins avec mon mari

#### Vie sexuelle :

"Plus aucune libido  
"Plus de libido due à une très grosse fatigue, douleurs lors des rapports donc rapports rares, il y a 3 ans j'ai eu un traitement au laser qui a bien fonctionné pendant 1 an, malheureusement ce traitement est très cher et pas remboursé donc je ne peux pas me refaire. on gynécologue m'a prescrit des ovules que je ne prends pas car me provoquent des brûlures.  
Problèmes vie sexuelle...sécheresse intense

#### Vie sociale :

"Plus aucuns contacts avec mes collègues, beaucoup d'amis se sont éloignés

#### Autres aspects :

##### Psychologiques

« La fatigue entraîne une déprime puisque ma vie est plus compliquée  
« Très grande dépression malgré les médicaments  
« Charge mentale fluctuante  
« Je ne fais que des projets à court terme.  
« Moment de déprime quand la maladie progresse mais globalement le mental reste bon car les traitements sont prometteurs  
« Découragement, perte de confiance en soi  
« Impact énorme : la maladie prend beaucoup de place, toutes les activités sont fixées en fonction du calendrier des chimios, difficultés à se projeter, peur de la mort, de la souffrance,  
« Dépression et difficulté à accepter la récurrence

## 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 ?

### Schéma thérapeutique

Les patients dont le cancer du sein précoce surexprime HER2 peuvent avoir accès aux traitements suivants : chirurgie, radiothérapie, chimiothérapie néo-adjuvante et/ou adjuvante (antracyclines et/ou taxane), un anti HER2 le trastuzumab et parfois le trastuzumab emtansine.

Depuis le 24 mars 2021 (avis commission de la transparence HAS), la 1<sup>ère</sup> ligne de traitement des cancers Her2 + métastatique peut associer deux médicaments ciblés en un seul le Phesgo® (pertuzumab + trastuzumab), associé à un taxane.

Le trastuzumab, le pertuzumab et le Phesgo® sont administrés par voie sous cutanée.

Le Phesgo® a l'avantage d'une seule injection pour 2 traitements toutes les 3 semaines en hospitalisation de jour.

Les effets indésirables les plus courants (touchent plus de 3 personnes sur 10) sont :

l'alopecie, la diarrhée, les nausées, l'anémie, une sensation de faiblesse et des douleurs articulaires.

Les effets indésirables graves (touchent jusqu'à 1 personne sur 10) sont :

la neutropénie avec ou sans fièvre, l'insuffisance cardiaque, la fièvre, les infections sanguines ou pulmonaires.

La seconde ligne de traitement est ensuite le trastuzumab emtansine (Kadcyla) administré par voie sous cutanée tous les 21 jours en hospitalisation de jour. Il a un surcroît de toxicité avec notamment plus d'effets indésirables de grade 3 et des risques importants identifiés : hépatotoxicité, thrombopénie, hémorragies et neuropathies périphériques.

Source HAS pour les lignes de traitement, source fiche Phesgo EMA/620936/2020 pour les effets indésirables

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

1. Argument 1 :

Les patients ont pu recevoir lors de leur parcours de soin de cancer au stade précoce le trastuzumab emtansine. Ils ont pu rechuter sous ce traitement ou peu de temps après.

2. Argument 2 :

Les patients ayant un cancer HER2 métastatique et présentant des métastases cérébrales doivent pouvoir accéder à des traitements innovants de façon plus précoce afin d'avoir un espoir de traitement adapté à leur situation et pouvoir alléger le sentiment « d'épée de Damoclès ».

3. Argument 3 :

Les données de l'étude DESTINY-BREAST03 démontrent une survie sans progression moins élevée avec le trastuzumab emtansine.

## 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 ?

#### 1. Amélioration majeure 1 :

Dans l'analyse principale des données de l'étude DESTINY-BREAST 03 présentées à la conférence virtuelle 2021 de la Société européenne d'oncologie médicale (ESMO), Trastuzumab-déruxtécane a démontré une réduction de 72 % du risque de progression de la maladie ou de décès par rapport au Trastuzumab emtasine (rapport de risque [RR] = 0,28 ; 95 % IC : 0,22-0,37 ;  $p=7,8 \times 10^{-22}$ ).

#### 2. Amélioration majeure 2 :

Les données de l'étude DESTINY-BREAST03 démontrent une survie sans progression plus élevée, avec une médiane de 15 mois, pour les patients traités avec le trastuzumab déruxtécane.

#### 3. Amélioration majeure 3:

**La survie sans progression plus élevée est aussi observée dans le sous- groupe de patients présentant des métastases cérébrales stables.** C'est un véritable espoir pour les patients qui ont connu une progression de la maladie avec les traitements actuellement disponibles.

#### 4. Autres améliorations :

Les patients sous ce traitement nous ont fait part d'une **efficacité plus importante et des effets secondaires moindres par rapport à une chimiothérapie classique.**

'Moins d'effets secondaires qu'avec une chimio classique

"Ciblé, Effets secondaires moindre, Vitesse d'accessibilité

"Baisse rapide des marqueurs, Amélioration des métastases hépatiques rapide, Chimio avec dose forte et moins d'effets secondaires grâce aux anticorps conjugués

"Avant tout, après plusieurs lignes de traitement en continu depuis plus de deux ans, c'est le premier traitement qui fonctionne sur ma maladie. Il est innovant parce qu'il combine deux approches et qu'il permet à la chimio de traiter tout l'environnement des cellules ciblées

"Plus de métastases

"Efficacité incroyable et sans nausées ni neuropathies

## 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 ?

### 5. Inconvénient principal 1 :

L'inconvénient qui revient le plus est la fatigue :

- « Grosse fatigue
- « Fatigue
- « Épuisement
- « Chute des globules - Fatigue

### 6. Inconvénient principal 2 :

Le second inconvénient est d'ordre digestif :

- « Mal de ventre
- « Nausées , mal au coeur
- « Problème de reflux gastrique -> spasme oesophagien
- « Toxicité digestive
- « Diarrhées

### 7. Inconvénient principal 3 :

Certains se plaignent d'une alopecie partielle et de sécheresse

“Perte partielle des cheveux, Sécheresse peau et muqueuses

“Effets secondaire sur la peau

“Problèmes de peau

“perte de cheveux

### 8. Autres inconvénients :

« neuropathie, douleurs musculaires et articulaires »

## 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 ?

### 9. Attente majeure 1 :

### 10. Attente majeure 2 :

### 11. Attente majeure 3:

### 12. 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 ?

13. Crainte principale 1 :

14. Crainte principale 2 :

15. Crainte principale 3 :

16. 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 :

La nature des effets indésirables, leur durée, leur niveau d'impact sur la qualité de vie

Type d'information 2 :

Renseigner les pauses de traitement (pour quels symptômes, quelle la durée)  
Mesure la saturation en oxygène pour suivre les effets pulmonaires

Type d'information 3 :

Proposition : plus de données de qualité de vie pour connaître le fardeau que représente le fait d'avoir une injection à l'hôpital toutes les 3 semaines versus une injection sous-cutanée

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs<sup>2</sup>) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?

☐ Non

☒ Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?

<sup>2</sup>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.

Les questionnaires de qualité de vie EORTC QLQ-C30 et EORTC Breast QLQ-LC..... sont les questionnaires PROMs de qualité de vie utilisés dans l'essai clinique phase 3. Néanmoins, ces questionnaires ne nous semblent pas adaptés au recueil de données dans la vraie vie et en autonomie pour le patient.

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 trastuzumab déruxécane est administré en perfusion intraveineuse par cathéter toutes les 3 semaines (cycle de 21 jours). Une combinaison de recueil de données sur les effets indésirables et la qualité de vie peut être possible : questionnaire à compléter à domicile en format papier ou en ligne / application en autonomie ou avec l'aide d'un soignant de proximité voire hospitalier au moment des injections.

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 ?

Au niveau de l'administration du médicament : plusieurs médicaments comportent du trastuzumab, il peut y avoir un risque d'erreurs d'administration entre trastuzumab seul, trastuzumab-pertuzumab, trastuzumab emtasine et trastuzumab déruxécane. **Il nous semble important que le nom du médicament soit vérifié avec le patient avant perfusion.**

Au niveau des effets indésirables graves : le risque de **pneumopathie interstitielle** diffuse est élevé avec le trastuzumab déruxécane. Ainsi, il semble nécessaire de prévenir le patient de ce risque et des symptômes à **surveiller** tels que **toux, dyspnée, fièvre et autres symptômes respiratoires** qui apparaissent ou s'aggravent. A cet effet, il nous semble nécessaire de prévoir un **suivi régulier de proximité** entre deux perfusions soit par l'utilisation d'une application sur les symptômes ressentis à domicile et en lien direct avec le centre de soins, soit par un contact téléphonique régulier du centre de soins pour une évaluation des risques et une prise en charge sans tarder soit par un suivi s'appuyant sur l'aide d'un soignant de proximité.

## 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 ? (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 : RCP, Échanges réguliers avec médecins experts, soignants et patients, congrès, recherches sur internet notamment via les sites spécialisés (HAS, INCA, EMA, ANSM ..... ).

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 a rédigé un questionnaire en se basant sur les points abordés dans le « Questionnaire de recueil du point de vue des patients » proposé par la HAS. Ce questionnaire a été mis en ligne sur « Mon réseau Cancer du Sein », la page Facebook et Instagram de Mon réseau Cancer du Sein et partagé auprès de plusieurs soignants et oncologues-sénologues entre le 14 et le 30 mars 2022.

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

17. ☐ Oui

18. ☐ 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 :

## 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 ?

19. ☐ Oui

20. ☒ Non

### 10.1 Complément d'information sur votre association ou groupe d'usagers<sup>3</sup>

Personne contact pour les contributions :

21. Nom prénom : Laure Guérault Accolas

22. Fonction : Fondatrice, Directrice

23. Adresse électronique : lga@patientsenreseau.fr

<sup>3</sup>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.

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

Lancé en Juillet 2014 par l'association Patients en Réseau, Mon réseau® cancer du sein s'adresse aux personnes touchées par les différents cancers du sein et leur entourage. Chaque année, ce sont près de 59 000 personnes qui sont confrontées à ces maladies, aux caractéristiques et pronostics diverses et qui les touchent profondément dans leur intimité, leur équilibre, leurs projets personnels et professionnels.

Mon réseau® cancer du sein 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 sein, 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 sein, 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 et la période délicate de l'après-cancer. Le site internet est accompagné d'une application mobile qui s'adapte aux besoins de connexion en mobilité de nos utilisateurs.

Voici les principaux bénéfices apportés par le réseau :

- ➔ Rompre l'isolement des personnes en favorisant le partage
- ➔ Se sentir accueillie 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 sein, 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 Novembre 2017 Mon réseau® cancer du poumon, 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 : Yannick Piau
- 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.

