

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 2 500 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 28 000 abonnés sur Facebook dont 1 650 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 5 300 abonnés sur Instagram dont 997 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 4 230 abonnés sur Twitter dont 1 010 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 88 membres adhérents à l'association en 2021

Nous avons proposé un questionnaire qui a été complété par 6 personnes concernées (5 patients et 1 proche de malade) sur la période du 14 au 30/03/2022.

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

Profil des répondants :

Les répondants sont soignés pour un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) depuis 1 à 10 ans.

Cinq des 6 répondants sont des femmes

Pour les 5 patients ayant répondu à la question, la découverte de leur mutation a été faite dans le cadre d'une recherche large de mutations proposée dans leur centre de soins.

4 patients sur 6 déclarent l'avoir reçu dans le cadre l'ATU.

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* : LUMYKRAS

Dénomination commune internationale (DCI)* : sotorasib

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement en monothérapie des patients atteints d'un Cancer Bronchique Non à Petites Cellules (CBNPC) avancé, présentant la mutation KRAS G12C, dont la maladie a progressé après au moins une ligne de traitement systémique antérieur.

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

Epidémiologie

Au sein des CBNPC, KRAS représente 30 % des adénocarcinomes et 5% des épidermoïdes.

KRAS G12C est la plus fréquente parmi les mutations de KRAS : elle représente **13% des CBNPC**.

Il s'agit donc d'une situation peu rare mais l'un des enjeux pour les patients reste l'accès au testing.

Schéma thérapeutique

Cette mutation est associée à un plus mauvais pronostic du cancer et à une réponse réduite aux chimiothérapies et/ou immunothérapies et/ou thérapies ciblées.

Actuellement, les patients atteints d'un CBNPC non testés ou testés KRAS G12C reçoivent en 1ère ligne une chimiothérapie à base de platine et/ou de l'immunothérapie. En cas de rechute, la tumeur du patient doit faire l'objet d'un test moléculaire si non déjà réalisé.

Les patients mutés KRAS G12C en 2ème ligne ne peuvent recevoir qu'une chimiothérapie à base de taxane +/- avastin dans l'attente de l'accès précoce ou du remboursement du Sotorasib.

La toxicité de l'association d'un taxane à l'Avastin est importante alors que son efficacité chez les patients KRAS G12C est mineure.

A ce jour, les patients n'ont accès à **aucune thérapie ciblée pour cette mutation en dehors d'une hypothétique inclusion dans un essai clinique**. De plus les patients les plus sévèrement atteints, avec des métastases cérébrales ou un mauvais score ECOG, ne peuvent être inclus dans les essais cliniques.

Le Sotorasib fait déjà partie des référentiels français pour le CBNPC : “*Les patients présentant une mutation de KRAS doivent être orientés vers des essais cliniques, particulièrement ceux présentant une mutation G12C. En seconde ligne, les patients présentant une mutation KRAS G12C doivent être orientés vers un accès précoce pour le sotorasib s'ils sont inéligibles aux essais cliniques*” (référentiel ARISTOT 2022)

Parmi les 5 patient(e)s et 1 proche ayant répondu à notre questionnaire :

- 2 patients ont reçu Sotorasib après chimiothérapie seule
- 2 patients après immunothérapie combinée
- 2 patients après immunothérapie seule

La dose recommandée de Sotorasib est de 960 mg (soit 8 comprimés de 120 mg une fois par jour), au cours ou après les repas, à la même heure chaque jour. Une adaptation de la posologie peut être prescrite selon la tolérance (3 paliers de dosage).

Les données d'efficacité de LUMYKRAS sont issues d'une étude multicentrique ouverte à bras unique (CodeBreaK 100) conduite chez des patients atteints d'un CBNPC localement avancé ou métastatique, présentant la mutation KRAS G12C, qui avaient une progression de la maladie après un traitement antérieur. Dans l'étude d'enregistrement de 124 patients, le taux de réponse objective était de 37,1 % (28,6 ; 46,2) et **la médiane de survie sans progression de 11,1 mois** (6,9 ; 15,0). (RCP)

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)

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 KRASG12C s'observent chez **13 % des patients** et principalement chez les patients atteints d'un adénocarcinome.
C'est une maladie **rare**.
- Argument 2 : **Grave** (évolution très fréquemment **fatale**) avec un **besoin médical important** en l'absence de traitement spécifique. La chimiothérapie et/ou l'immunothérapie restent des traitements lourds, très difficile en termes de qualité de vie et avec une efficacité qui semble très discutable pour ce type de mutation.

- 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.

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

Patient : « Essoufflement, fatigue, pas d'envie d'activité maux de tête »

« Fatigué »

« la fatigue est trop présente »

–

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

NA

– **Activités de la vie quotidienne :**

Patient : « Essoufflement, fatigue, pas d'envie d'activité maux de tête »

« je ne sors que pour me rendre à mes rendez-vous médicaux, »

« Difficulté à formuler des projets »

– **Mobilité/déplacement :**

Patient : « Adaptabilité en fonction de la fatigue des effets secondaires du traitement et des douleurs limitant les déplacements »

« Fatigué difficulté pour marcher, douleurs »

–

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

Patient : « Je ne peux plus travailler, une des métastases du cerveau à éclater et j'ai eu une craniectomie, les lumières me fatigue, le bruit aussi j'ai du mal à me concentrer et j'oublie beaucoup de choses et je suis très essoufflé au moindre effort »

« Je suis en arrêt maladie de fin juin 2021, assistante de direction, je ne me vois pas reprendre le travail pour l'instant. »

Proche : « ma fille est présente pour moi, mais je veux qu'elle vive sa vie normalement et on y parvient très bien, seuls les examens de contrôles sont des périodes plus stressantes. »

« je me suis mis en arrêt depuis le début de la maladie »

–

– **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... n'oublions pas les personnes célibataires, veufs/veuves ou divorcées qui font face à des difficultés importantes alors qu'elles sont seules au quotidien.

Patient : « mon mari m'a lâchée, il ne voulait plus s'embêter avec la maladie, et cela après 25 ans de mariage.. »

—

— **Vie sexuelle :**

Proche : « beaucoup de tendresse et d'amour, le sexe elle a pas la tête à ça et je respecte car je l'aime plus que tout »

Patient : « Plus de libido »

— **Vie sociale:**

Patient : « je ne vois plus grand monde, la maladie fait fuir... »
« Empathie »

— **Vie sociale :**

— **Autres aspects :**

Psychologiques

Patient : « Je garde le moral, je me bats avec ce cancer et je vais réussir »

« je garde le moral, même si parfois il y a des hauts et des bas comme tout le monde »

« Intensité émotionnelle »

« Faire face à la souffrance des proches »

« C'est les montagnes russes, j'essaie de vivre au jour le jour mais c'est pas facile tous les jours. »

Proche : « quand ça va mon moral ça va, mais quand elle souffre ou qu'on apprend encore une mauvaise nouvelle je m'effondre avec elle »

« Difficile pour eux aussi. Quand je suis bien ils sont bien, quand je suis pas bien ils sont pas bien aussi »

« tout le monde est anéanti »

« notre vie s'est écroulée »

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 :

Schéma thérapeutique

Cette mutation est associée à un plus mauvais pronostic du cancer et à une réponse réduite aux chimiothérapies et/ou immunothérapies et/ou thérapies ciblées.

Actuellement, les patients atteints d'un CBNPC non testés ou testés KRAS G12C reçoivent en 1ère ligne une chimiothérapie à base de platine et/ou de l'immunothérapie. En cas de rechute, la tumeur du patient doit faire l'objet d'un test moléculaire si non déjà réalisé.

Les patients mutés KRAS G12C en 2ème ligne ne peuvent recevoir qu'une chimiothérapie à base de taxane +/- avastin dans l'attente de l'accès précoce ou du remboursement du Sotorasib.

La toxicité de l'association d'un taxane à l'Avastin est importante alors que son efficacité chez les patients KRAS G12C est mineure.

A ce jour, les patients n'ont accès à **aucune thérapie ciblée pour cette mutation en dehors d'une hypothétique inclusion dans un essai clinique**. De plus les patients les plus sévèrement atteints, avec des métastases cérébrales ou un mauvais score ECOG, ne peuvent être inclus dans les essais cliniques.

Le Sotorasib fait déjà partie des référentiels français pour le CBNPC : *“Les patients présentant une mutation de KRAS doivent être orientés vers des essais cliniques, particulièrement ceux présentant une mutation G12C. En seconde ligne, les patients présentant une mutation KRAS G12C doivent être orientés vers un accès précoce pour le sotorasib s'ils sont inéligibles aux essais cliniques”* (référentiel ARISTOT 2022)

➔ **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 toxicités dont en premier lieu une fatigue invalidante.
- Argument 2 : L'immunothérapie sous réserve de son efficacité dans cette pathologie nécessite une injection toutes les 2 à 6 semaines en HDJ ou HAD.
- Argument 3 : Les TKI spécifiques permettent de meilleures réponses et de meilleures survies que les traitements existants (chimiothérapies, immunothérapies) dans d'autres mutations (EGFr, ALK, ROS1...) mais pas dans cette mutation KRAS G12C à l'heure actuelle.

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 cliniquement par les patients. Le passage de la barrière hémato-encéphalique est un atout dans ce cancer dans lequel les métastases cérébrales sont fréquentes. 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 puissent voir le jour.

« Depuis le mois de juillet 2021 il a stabilisé mes 5 métastases au cerveau »

« Tout à bien fonctionné au début de la prise du médicament Sotorasib(3 semaines), je me sentais mieux, plus de douleurs, je dormais mieux »

« Suppression des douleurs. Stabilisation de l'évolution des tumeurs »

« Dès la prise du médicament Sotorasib je me suis sentie mieux. Moins de douleurs. Je dormais mieux »

- Amélioration majeure 2 :

Une **amélioration rapide de la qualité de vie**

“..... je me sentais mieux, plus de douleurs, je dormais mieux »

« Très bonne tolérance - Pas de problème »

« Regain d'appétit et de forme »

« A part de la fatigue modérée, je n'avais aucun autre effet secondaire, malheureusement je n'ai eu ce traitement que de juin 2021 à novembre 2021, car ensuite il n'était plus efficace. »

- Amélioration majeure 3:

Une forme **orale avec une prise quotidienne** permet de retrouver de la liberté dans la vie de tous les jours. Le nombre de 8 comprimés permet l'adaptation de la posologie au plus près des effets indésirables éventuellement présentés.

Le plan de prise est simple et facile à suivre. La disponibilité en pharmacie sera très appréciable pour les patients.

- 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 rapportés dans le RCP sont confirmés par les déclarations de nos répondants.

« Fatigue, Douleurs articulaires et inflammatoires genoux, mains, épaules je vais consulter un rhumatologue pour cela »

« très bien marché sur la tumeur mais on a dû arrêter car très toxique pour son foie. on a essayé à 3 reprises en diminuant les dose et la dernière avec de la cortisone mais toujours aussi toxique pour le foie »

« Les effets secondaires notamment digestifs et la fatigue »

Les principaux effets indésirables rapportés par les patients sont la fatigue, les diarrhées/nausées/vomissements, les perturbations sanguines et les douleurs articulaires. Un cas de diarrhées et une atteinte hépatique ont été rapportés comme sévères. Une patiente a rapporté une alopecie (cheveux, cils, sourcils..).

Sur les 6 répondants, 2 patients n'ont rapporté aucun effet indésirable.

- Inconvénient principal 2 :

Malgré un plan de prise simple, certains patients ont relevé la grosseur et le nombre de comprimés à avaler. Même si le nombre de 8 comprimés permet l'adaptation de la posologie cela peut être difficile à prendre en une fois.

- Inconvénient principal 3 :

La prise quotidienne de 8 comprimés au long cours pourrait être un facteur de non observance et un des points de vigilance particulier à garder pour les soignants

- 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 : Les effets indésirables : éventuels troubles digestifs, hépatiques,
- Type d'information 2 : La qualité de vie : douleurs, sommeil,
- 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 ?

Les questionnaires de qualité de vie EORTC QLQ-C30 et EORTC Lung QLQ-LC13 sont les questionnaires PROMs de qualité de vie utilisés dans l'essai clinique phase 3. 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. ?)

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.

La collection des données reste un point crucial de la réussite de ces accès précoces. 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 dédiée 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 à envisager.

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)

Le PUT de juillet 2021 a été consulté sur le site de l'ANSM. Aucun commentaire.

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 Poumon », la page Facebook de Mon réseau Cancer du Poumon et partagé auprès de plusieurs soignants et pneumo-oncologues entre le 14 et le 30 mars 2022.

→ **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 :

La mutation KRAS G12C concerne 13% des patients CBNPC et est associée à un plus mauvais pronostic du cancer ainsi qu'à une réponse réduite aux chimiothérapies et/ou immunothérapies et/ou thérapies ciblées.

Le médicament étudié répond aux besoins et attentes des patients parce qu'il apporte pour la première fois, une solution supplémentaire et spécifique dans l'arsenal thérapeutique pour les patients dont le cancer présente une mutation KRAS G12C.

Sotorasib, est une nouvelle option qui semble apporter un temps de plus, avec une efficacité et une tolérance qui en font une nouvelle ligne de traitement, à domicile, en autonomie, ce qui est très appréciable.

Le schéma de prise est simple, l'adaptation de dose possible, la tolérance est bonne.

La qualité de vie est améliorée par ce traitement pris à domicile. Grâce à son efficacité et sa tolérance, le Sotorasib permet une amélioration de la situation des patients répondants.

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 », 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 2 500 utilisateurs dont plus de 1 020 actifs sur la dernière année. Les pages des réseaux sociaux ouverts « Mon Réseau Cancer du Poumon » font aussi partie de cette dynamique :

- 1650 sur Facebook
- 1 010 sur Twitter
- 997 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

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'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 : 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.