

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 : ASSOCIATION CANCER VESSIE FRANCE LES ZUROS

Adresse du siège* : Mairie, Rue de l'Église, 62120 MAZINGHEM

Nature de la structure* : Association non-agrée

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

115 adhérents, 544 membres du groupe de soutien

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

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : n/a

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

Nom commercial* : PADCEV

Dénomination commune internationale (DCI)* : enfortumab vedotin

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

le traitement en monothérapie des patients adultes atteints de carcinome urothélial localement avancé ou métastatique, ayant reçu précédemment une chimiothérapie à base de sels de platine et un inhibiteur du récepteur de mort programmée-1 ou un inhibiteur du ligand du récepteur de mort programmée-1

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

C'est une avancée importante pour les patients ayant un cancer avancé, il y a peu de traitements disponibles en 3^e ligne car les chimiothérapies ont peu de chance de marcher, et souvent les patients sont inéligibles à la chimiothérapie en raison de leur état déjà dégradé. Les résultats de l'étude phase III EV-301 sont encourageants. Cependant il semblerait qu'il y a lieu de mieux détecter et prendre en charge les effets secondaires notamment cutanés. Il faudrait avoir une approche pluridisciplinaire dès le départ, en associant par exemple des allergologues et dermatologues, avec une évaluation du patient par un dermatologue entre la 1^{ère} et 2^e injection.

Parole de proche aidant :

Mon père a reçu le Padcev la 1^{ère} fois le 8 novembre 2021 puis la 2^{ème} fois le 15 novembre 2021 son cancer de la vessie s'était métastaser à la glande surrénale au poumon au foie puis aux os. Avant cela il avait eu de la chimiothérapie puis de l'immunothérapie sans succès c'est pour cela que l'équipe médicale lui ont proposer ce traitement expérimental

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 : Avec une progression de la maladie malgré chimiothérapie et immunothérapie, le patient est face à la mort certaine, et il n'y a plus trop d'options de traitement.
- Argument 2 : La progression des métastases s'accompagne de douleurs atroces difficiles à soulager
- Argument 3 : Les proches aidants sont démunis à ce stade de la maladie et supportent souvent une charge très lourde au quotidien.

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

Parole des patients et proches aidants :

Dites-nous en plus sur l'impact de la maladie sur la qualité de vie des patients ou de leurs proches

3 réponses

Tout à changer.

les rdv medicaux sont nombreux et prennent du temps. sinon qualité de vie quasiment normale..

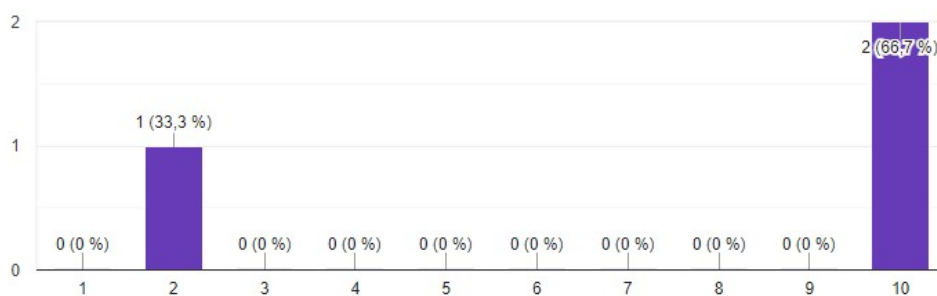
Tout les autres traitement que mon Papa a eu hormis Padcev ont toujours était bien supporter pour sa part. Il continuer son activité professionnelle tout en étant en période de chimiothérapie ou d immunothérapie jamais il ne se plaignait jamais a toujours eu de l appétit n a jamais maigri ni même perdu ses cheveux

– Fatigue intellectuelle ou physique :

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

Fatigue intellectuelle ou physique

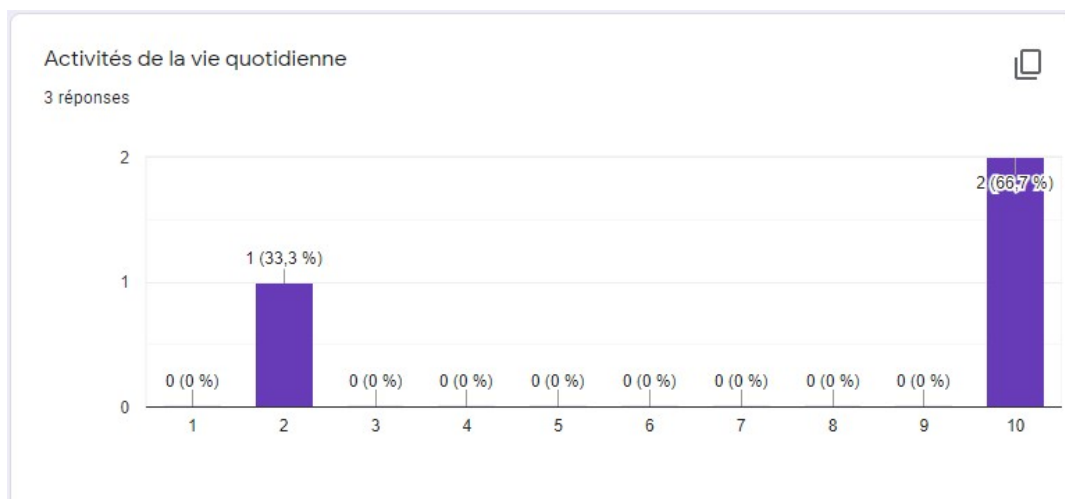
3 réponses



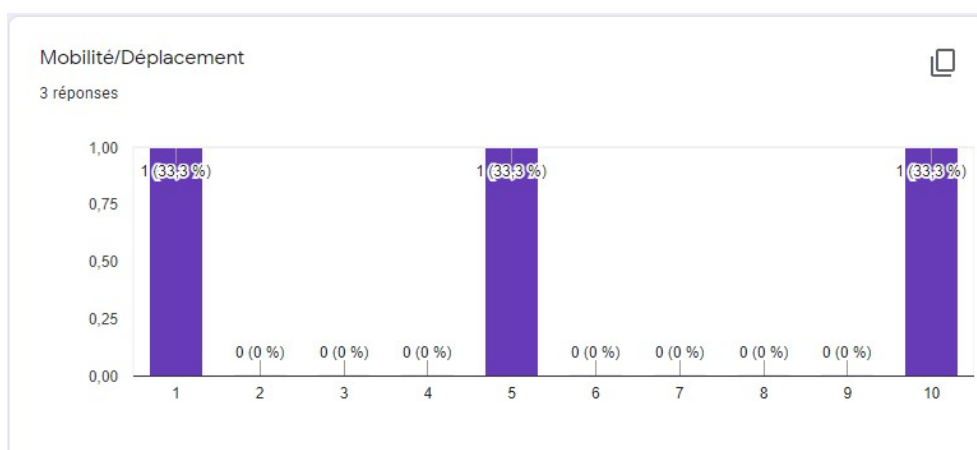
– Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur

n/a

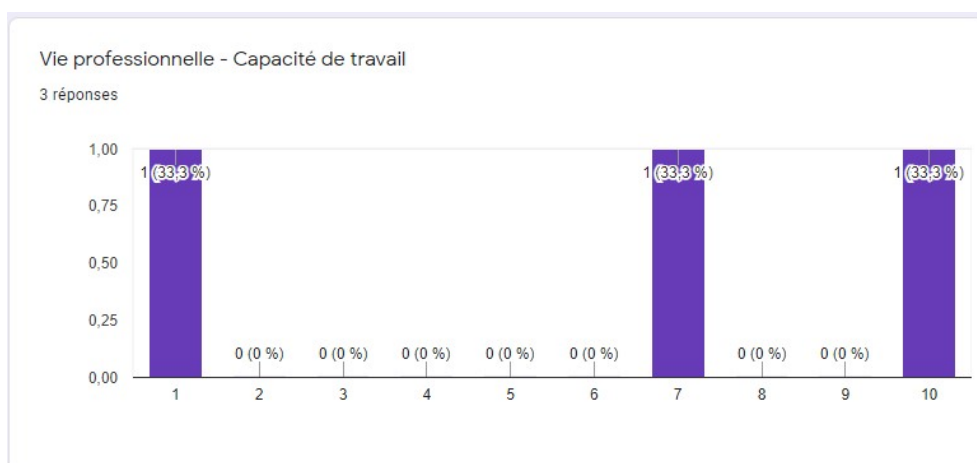
– **Activités de la vie quotidienne :**



– **Mobilité/déplacement :**



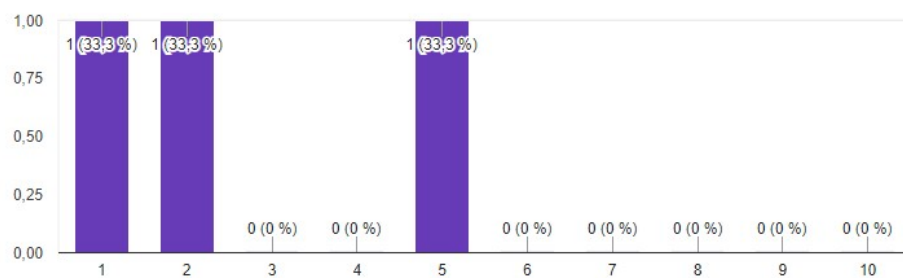
– **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**



– **Vie affective :**

Vie affective

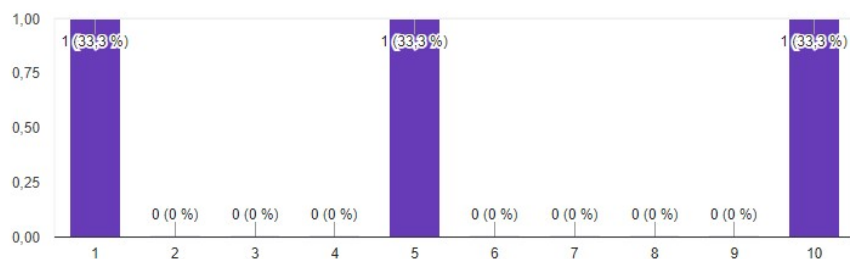
3 réponses



— Vie sexuelle :

Vie sexuelle

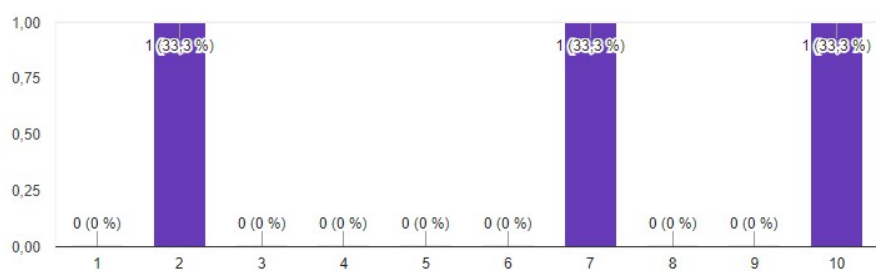
3 réponses



— Vie sociale :

Vie sociale

3 réponses



— Autres aspects :

n/a

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 :

Les autres traitements pour cette indication sont : Soins palliatifs, radiothérapie palliative, essais cliniques. Chimiothérapies de 3^e ligne (paclitaxel, docetaxel, vinflunine).

Selon les derniers ESMO Guidelines (Volume 33 Issue 3 2022), Enfortumab Vedotin est recommandé dans la population de patients dans l'indication en question :

*« Treatment of ChT and immunotherapy-relapsed disease
This population included third-line therapy after the sequence of platinum-based ChT and ICIs. It also included second-line therapy after first-line ChT and maintenance avelumab. EV has been tested in phase II and phase III trials in advanced disease UC after progression with ChT and ICIs. Confirmed RRs were 44% (95% CI 35% to 53%) in the phase II study.¹⁰³ The phase III trial showed superior RRs (41% versus 17%), PFS (HR 0.62, 95% CI 0.51-0.75) and OS (HR 0.70, 95% CI 0.56-0.89; 12.8 versus 9.0 months) for EV versus ChT (vinflunine or taxanes).¹⁰⁴ Grade 3 or more adverse events of special interest associated with the new class of drug were rash (15%), peripheral neuropathy (5%) and hyperglycaemia (4%). EV should be considered the standard of care in this population, which includes patients with progression of disease after first-line ChT and maintenance avelumab [I, A]. »*

Dans les EAU Guidelines (Mars 2021) on retrouve cette mention sur le Vinflunine en 3^e ligne :

« Vinflunine was approved as second-line treatment in Europe (not in the U.S.). More recently, second-line therapy with PD-1/PD-L1 checkpoint inhibitors has been established as standard second-line therapy and vinflunine is reserved for patients with contraindications to immunotherapy and may be considered as third- or later-line treatment option although no randomised data for these indications exist. »

On peut lire aussi cette mention sur l'Enfortumab Vedotin :

« Another promising drug is enfortumab vedotin, an antibody-drug conjugate (ADC) targeting Nectin-4, a cell adhesion molecule which is highly expressed in UC conjugated to monomethyl auristatin E (MMAE). A published phase-II single-arm study (n = 125) in patients previously treated with platinum chemotherapy and

checkpoint inhibition showed a confirmed objective response rate of 44%, including 12% complete responses [558]. Responses were seen across patient subgroups including 41% in checkpoint inhibitor non-responders and 38% in patients with liver metastases. The most common treatment-related AEs included fatigue (50%), alopecia (48%), and decreased appetite (41%). Treatment-related AEs of interest included any rash (48% all grade, 11% $\geq$ G3) and any peripheral neuropathy (50% all grade, 3% $\geq$ G3). This data led to the accelerated FDA approval for enfortumab vedotin in locally advanced or metastatic UC patients who have previously received a PD-1 or PD-L1 inhibitor, and platinum-containing chemotherapy in the neoadjuvant/adjuvant, locally advanced or metastatic setting [559]. A phase III RCT comparing enfortumab vedotin with single-agent chemotherapy has reported preliminary results (ASCO GU 2021), reporting a significant survival benefit [558]» et le niveau de preuve est « fort ».

Further treatment after platinum- and immunotherapy

Offer treatment in clinical trials testing novel antibody drug conjugates (enfortumab vedotin, sacituzumab govitecan); or in case of patients with <i>FGFR3</i> alterations, <i>FGFR</i> tyrosine kinase inhibitors.	Strong
--	--------

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

- Argument 1 : Peu de patients dans cette indication sont éligibles à la chimiothérapie de 3^e ligne.
- Argument 2 : Les chimiothérapies de 3^e ligne sont peu efficaces pour le risque de toxicité encouru.
- Argument 3 : La radiothérapie palliative n'est pas appropriée dans beaucoup de cas.

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

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.

traitements 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 :

Efficacité importante comparée aux traitements existants. Notamment l'étude positive EV-301** (median OS 12.9 vs 9 mois, PFS 5.6 vs 3.7 mois, ORR 40.6% vs 17.9%)

**<https://www.oncoclic.fr/actualites/c/0/i/53960679/asco-gu-2021-enfortumab-vedotin-ev-la-revolution-des-adc-dans-les-cancers-urotheliaux>

Paroles de patients, très divergentes car on remarque soit une bonne tolérance et stabilisation, soit une mauvaise tolérance et des effets secondaires graves :

L'expérience avec le Padcev

Décrire l'impact de Padcev sur l'état de santé du patient (guérison, durée de vie...)

3 réponses

Aucuns on arrête tout

cela semble stabiliser ma maladie ou la regresser mais je n'ai pas encore assez de recul pour savoir exactement

Padcev a tuer mon Papa 17 jours après sa 1 ère injection il a beaucoup souffert cela a commencer le 3 eme jours après la 2 eme dose il a eu de la fièvre des nausées mais n arrivait pas à vomir des plaques rouges avec des cloques brûlantes sur tout le corps et se plaignait énormément de brûlure dans la gorge il ne pouvait plus manger et les aliments pour lui avaient un goût de fer il est resté coucher durant tout le week end chose qu il ne faisait jamais et il était devenu très nerveux

- Amélioration majeure 2 :

Facilité d'administration du traitement (durée 30 min environ)

Paroles de patients :

Commentez l'usage de ce traitement (facilité d'administration, etc)

3 réponses

Idem aux autres.

assez rapide (30mn). cela serait encore plus simple pour le patient si ca pouvait etre fait à domicile

L usage de ce traitement se faisait toute les semaines pendant 3 semaines puis 1 semaine de repos

- Amélioration majeure 3:

Toxicité hématologique moins importante** comparée à la chimiothérapie, ce qui est vraiment significatif dans cette population.

**<https://www.oncoclic.fr/actualites/c/0/i/53960679/asco-gu-2021-enfortumab-vedotin-ev-la-revolution-des-adc-dans-les-cancers-urotheliaux>

la chimiothérapie standard etait assez fatigante (cisplatine gemcitabine) avec des hospitalisation de nuit pour l'hyper hydratation, ce qui etait assez éreintant.. l'immunothérapie ne me posait pas vraiment de probleme. le padcev ne semble pas m'en poser également jusqu'à present (5 doses de recues)

je ne ressens pas d'effets indesirables notables jusqu'à present

- Autres améliorations :

Durée d'hospitalisation réduite par rapport à la chimiothérapie (quand tout se passe bien sans complications)

des effets secondaires)

Paroles de patients et proches aidants :

Décrire les éventuelles avantages de Padcev

3 réponses

Pour ma part aucuns

pas devoir etre hospitalisé la nuit et la durée d'injection est assez rapide (30mn)

Aucun juste faire souffrir le patient et les proches

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 :

Effets secondaires importants (notamment cutanés) pouvant même être mortels

Allergies sévères, éruptions de peau, brûlures très souffrantes, dormi 20h par jours, ne m'alimenter pas perdu mes cheveux à 2 traitements.
Nous avons arrêté ce traitement pour ma part.

Ce n'est pas l'impact de la maladie mais l'impact du traitement Padcev qui a fait décéder mon Papa qui nous a beaucoup bouleversé et qui nous bouleverse encore presque 3 mois après. En effet mon Papa a fait un empoisonnement qui lui a été mortel à cause de cette chimiothérapie

A la fin c'est à dire 5 jours après la 2ème dose mon Papa n'avait plus la force de conduire et ne faisait que de dormir il était devenu plus distant avec ma mère ne lui parlait plus comme avant je pense qu'il voyait que c'était la fin pour lui

Décrire l'impact de Padcev sur la qualité de vie du patient (fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, mobilité, vie professionnelle, la vie affective, sexuelle, la vie sociale ou autres...)

3 réponses

Plus de vie au quotidien en deux traitements plus rien ne fonctionnait pour moi!
Plus de potassium, magnésium de balancement thyroïde.
Hospitaliser 4 jours pour réhydrater mes reins en insuffisance rénale.

Décrire les éventuelles inconvénients de Padcev

3 réponses

J'aurai pu en mourir.

les risques d'effets secondaires qui peuvent être apparemment graves chez certains patients

Tout pour moi Padcev a tué mon père donc je ne veut plus en entendre parler

- Inconvénient principal 2 :

L'impact sur les proches aidants en cas d'effets secondaires sévères :

Paroles de patients et proches aidants :

Décrire l'impact de Padcev sur la qualité de vie des proches du patient

3 réponses

On eu à s'occuper de moi 24/24 me médicamentés me nourrir me mettre de la crème au deux heures.

pas d'impact

Nous sommes tous dévasté triste par la mort de mon Papa il est parti tellement vite qu'on ne s'y attendait. La vie n'est plus la même depuis qu'il est parti et nous nous sentons tellement impuissants de l'avoir laissé souffrir sans rien pouvoir faire

- 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 :

Prolongation de la vie dans de bonnes conditions (sans devoir être hospitalisé tout le temps, de pouvoir mener une vie presque normale)

- Attente majeure 2 :

Toxicité/effets secondaires moindres que ceux d'une chimiothérapie

- 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 :

Des effets secondaires spectaculaires, notamment cutanés, voire mortels, nous ont été rapportés par des patients et leurs proches aidants.

Paroles de patients et proches aidants :

Avez-vous autre chose à dire à propos de Padcev?

3 réponses

J'ai souffert le martyr avec toutes ses brulures et démangeaisons.
Souffrir pour essayer de guérir... pour ma part je n'en peu plus !

ce traitement me laisse l'espoir de garder une bonne qualité de vie et survie le plus longtemps possible..

Mis à part que Padcev a tué mon père en 3 jours c'est tout ce que je retiens de ce traitement il venait de fêter ses 63 ans 20 jours avant son décès il était un homme brave Bon et courageux qui aimait qu'une chose dans la vie son travail dans la nature il venait de s'acheter un nouveau camion qu'il n'a même pas eu le temps de conduire il a souffert énormément j'ai toujours ces images qui me hantent de le voir souffrir sur son lit d'hôpital. Ce traitement a non seulement tué mon père mais également détruit une famille verte son cancer s'était propagé à beaucoup d'autres organes mais je pense qu'on aurait pu lui éviter une telle souffrance et nous dire dès le début que cette chimiothérapie était une chimiothérapie de survie pour quelques mois car ça on ne l'avait jamais dit à mon père on lui avait dit que cette chimiothérapie l'aiderait à guérir et non à survivre 4 ou 6 mois sinon il ne l'aurait jamais commencé le milieu médical nous a menti et j'en suis énormément déçu aujourd'hui je dois le recueillir tout les jours sur sa tombe pour pouvoir lui parler

- **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 :** Surveillance des effets secondaires cutanés
- **Type d'information 2 :** Le ressenti général du patient

– **Type d'information 3 :**

Selon vous, pendant le traitement, quels sont les 3 types d'information essentiel pourraient recueillir eux-mêmes afin de mieux connaître l'efficacité et la sécurité

3 réponses

On avait rien pour moi à m'indiquer le pharmacien ne connaissait pas et ou d'information sur les risques, bénéfices attendus et effets secondaires
Plaques cutanées brûlure gorge nervosité

→ **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 ?**

- X Non
– ☐ Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?

Pendant le traitement, a-t-on donné un questionnaire de recueil de données de santé (PROMs, voir un exemple ici : https://ile-de-france.drjscs.gouv.fr/sites/ile-de-france.drjscs.gouv.fr/IMG/pdf/qualite_de_vie_sf36.pdf) ? Si oui, savez-vous quel questionnaire a été donné ?

3 réponses

Non

non

→ **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. ?)**

Une application smartphone à domicile, ou questionnaire écrite, mais aussi avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, et surtout par téléphone, il faudrait que l'équipe téléphone au patient notamment après la première injection, pour le questionner sur les éventuels effets secondaires.

→ **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 ?**

Il semblerait qu'il y a lieu de mieux détecter et prendre en charge les effets secondaires notamment cutanés. Il faudrait avoir une approche pluridisciplinaire dès le départ, en associant par exemple des allergologues et dermatologues, avec une évaluation du patient par un dermatologue entre la 1ère et 2ème injection.

Paroles de patients et proches aidants :

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.

Avez-vous des suggestions ou commentaires sur les mesures de gestion des risques à prendre pour les patients qui recevront le PADCEV (gestion des effets secondaires, suivi à mettre en place...) ?

3 réponses

J'ai toujours signé les autorisations de traitements sans me poser d'avantages de questions ... celui-ci à tellement mal tourné que j'ai peur pour le suivant si y a un suivant ...

connaître les modalités de ce qu'on doit faire en cas d'apparition de symptômes

Aucun

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

La HAS peut décider de transmettre le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'utilisateurs. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de bien vouloir renseigner la rubrique suivante.

- **Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**

Nous n'en avons pas connaissance.

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) ?**

Pour les traitements actuellement disponibles : en se basant sur nos connaissances scientifiques acquises au cours de divers congrès EAU / ESMO Patient Track, mais aussi des expériences anecdotiques rencontrées dans les forums de soutien aux patients. Nous avons consulté les guidelines de ESMO et EAU, et fait un peu de recherche sur internet. Nous avons demandé une validation de notre compréhension au Pr Neuzillet concernant les autres traitements actuellement disponibles en France. Pour la partie « impact de la maladie », nous avons directement interrogé nos membres via un questionnaire google forms. 3 personnes ont répondu (2 patients, 1 proche aidant dont le proche est décédé).

→ **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 ?**

Nous avons directement interrogé nos membres via un questionnaire google forms dont le lien a été diffusé sur nos réseaux sociaux, notamment Facebook. 3 personnes ont répondu (2 patients, 1 proche aidant dont le proche est décédé). Seule l'association a rédigé et consulté les réponses du google forms, le laboratoire n'a pas du tout été associé à cette démarche.

→ **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 ?**

Lori FUNK-CIREFICE, membre du bureau de l'association

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

Pr Yann Neuzillet au sujet des autres traitements disponibles.

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 :

Il y a un réel besoin de traitement innovant dans l'indication en question, le patient en situation « 3è ligne » qui a très peu d'options typiquement, et sait qu'il va mourir à plus ou moins court échéance, car il a déjà épuisé ses options de traitement et la maladie est en progression. Le PADCEV a démontré des résultats très encourageants lors des essais cliniques dans ce contexte. C'est l'option de la dernière chance, et nous constatons dans notre groupe de soutien que les patients veulent avoir une chance, ils veulent essayer une option qui leur permette de gagner quelques mois de vie, voire quelques années. Cependant, les effets secondaires rapportés par nos membres font un peu peur. On a l'impression que les effets secondaires du PADCEV sont moins bien connus et moins bien gérés que les effets secondaires de la chimiothérapie. Nous préconisons une approche pluridisciplinaire avec évaluation d'un dermatologue systématique entre la 1ère et 2ème injection.

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts

→ Souhaitez-vous que cette rubrique soit rendue publique ?

- Oui
- X Non

10.1 Complément d'information sur votre association ou groupe d'utilisateurs³

→ **Personne contact pour les contributions :**

- Nom prénom : FUNK-CIREFICE Lori
- Fonction :déléguee aux coalitions de patients au sein de Cancer Vessie France, membre du conseil d'administration de la coalition World Bladder Cancer Patient Coalition
- Adresse électronique :cirefice@gmail.com
- Téléphone :0613195335

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

Rompres l'isolement des malades en leur permettant de dialoguer entre eux pour mettre des mots sur leurs maux. Permettre à ses membres de communiquer facilement. Trouver une écoute.

Informers le public par des campagnes de sensibilisation. Faire connaître la pathologie auprès du public.

Partager les progrès de la recherche.

Développer la prévention.

Lutter pour que le BCG et la Mitomycine-C restent toujours disponibles, et promouvoir l'accès aux traitements innovants

Collecter des fonds pour la recherche sur ce cancer.

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

Composition du bureau :

Président..... Frédérick MERLIER

Secrétaire..... Marie-Claire SUEL

Trésorière..... Marie LEBLANC

Déléguee Coalitions Lori FUNK-CIREFICE

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.

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 : 2021 : 5602 €**

➔ **Budget total de l'association pour l'année en cours : 2022 prévisionnel : 8303 €**

Compte	Période en cours 2021	2020	2019	2018	2017
PRODUITS D'EXPLOITATION					
708800 - Autres recettes d'activités - Foires Expositions	268,70	0,00	3 160,80	2 620,91	160,00
708810 - Autres recettes d'activités - Enquêtes	1 030,00	3 692,50	0,00	0,00	0,00
753100 - Versements des fondateurs	0,00	0,00	0,00	0,00	200,00
740400 - Subventions d'exploitation - Commune ou intercommunalité	150,00	150,00	150,00	0,00	
754000 - Dons et Collectes	2 493,51	1 730,42	1 633,35	360,00	140,00
756000 - Adhésions	1 660,00	1 380,00	1 440,00	740,00	240,00
Total	5 602,21	6 952,92	6 384,15	3 720,91	740,00

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021	Janssen	250	4%
2021	Mairie de Mazinghem	150	2.6%
2021	Merck Pfizer	500	8.9%
	Divers cabinets de recherche (ie : Exafield)	530	9.4%
2022	Astellas	2000	24%
2022	Merck Pfizer	À déterminer, peut-être 1000€	12%
	Divers cabinets de recherche (ie : Exafield)	À déterminer, peut-être 1000€	12%
2022	Mairie de Mazinghem	150	1.8%

➔ **Pensez-vous nécessaire de porter à la connaissance de la HAS d'autres liens qui pourraient constituer un potentiel conflit d'intérêts ?**

Nous avons collaboré avec Astellas sur un projet rémunéré de Podcast pour sensibiliser au cancer de la vessie, ce projet a commencé en 2021 et se termine en 2022.

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.

