

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 :

- 14 600 utilisateurs de nos réseaux privés dont 2 550 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 28 500 abonnés sur Facebook dont 1 660 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 5 300 abonnés sur Instagram dont 1 010 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 4 230 abonnés sur Twitter dont 1 030 sur Mon Réseau Cancer du Poumon
- 176 membres adhérents à l'association

Nous avons proposé un questionnaire qui a été complété par 2 personnes concernées (un homme et une femme de plus de 65 ans) sur la période du 29/04/2022 au 06/05/2022.

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

Profil des répondants :

- Les 2 répondants sont traités pour un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) métastatiques ;
- Pour un des patients, la découverte de leur mutation a été faite dans le cadre d'une recherche large de mutations proposée dans leur centre de soins au moment du diagnostic, pour l'autre au cours de l'évolution de la maladie ;
- Les 2 patients déclarent avoir reçu le capmatinib dans le cadre l'ATU, dont un depuis seulement 2 semaines.

A noter : *Leurs verbatims sont entre guillemets et en italique violet 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* : TRABRECTA / CAPMATINIB

Dénomination commune internationale (DCI)* : Capmatinib

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement en monothérapie des patients adultes présentant un Cancer Bronchique Non à Petites Cellules (CBNPC), localement avancé ou métastatique, présentant une mutation de l'exon 14 de c-MET ayant déjà reçu au moins une première ligne de traitement par chimiothérapie et/ou immunothérapie.

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

Épidémiologie

2-4% des Adénocarcinomes et environ 1% de tous les CBNPC.

Il s'agit donc d'une **mutation très rare** et l'un des enjeux pour les patients reste **l'accès au testing**.

Selon l'annexe III du protocole de la RTU crizotinib élaboré par l'ANSM (22/04/2020),

« le CBNPC présentant une mutation de l'exon 14 du gène MET représente un sous-groupe supplémentaire de cancers du poumon (environ 3% de la population totale de CBNPC) qui a été associé à un pronostic médiocre et sans aucun traitement ciblé approuvé à ce jour ».

« La population concernée par l'utilisation de crizotinib dans l'indication de la RTU peut être estimée entre 310 et 415 patients par an. Cette estimation est maximaliste dans la mesure où elle dépend de la fréquence de réalisation du test de diagnostic de la mutation c-MET qui n'est pas recherchée systématiquement en routine. »

« L'activation du gène c-MET promeut la prolifération, la survie, la motilité et l'invasion cellulaire, favorisant la croissance tumorale. Le capmatinib est un inhibiteur de c-MET qui a montré une capacité à réduire la migration et l'adhésion des cellules tumorales, ce qui va limiter la formation de métastases. »

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

Actuellement, *“aucun traitement du CBNPC ciblant spécifiquement la mutation de l'exon 14 du gène MET ne dispose d'une AMM en France. Le capmatinib (...) est disponible dans le cadre d'une ATU nominative dans le traitement du CBNPC avancé ou métastatique porteur d'une mutation de c-MET*

affectant l'exon 14, chez les patients ayant déjà reçu une première ligne de traitement et non éligibles à un essai clinique en cours en France. Selon les recommandations françaises de 2020 : « en cas de mutation dans l'exon 14 de MET, une inclusion dans un essai thérapeutique dédié doit être privilégiée. Alternativement, une ATU nominative pour le capmatinib peut être demandée en seconde ligne. » (...)

« En 2ème ligne du CBNPC avancé, après une chimiothérapie antérieure, quel que soit le type histologique (épidermoïde ou non épidermoïde), en l'absence d'altération moléculaire et de contre-indication, l'immunothérapie est le traitement à privilégier.

Pour les patients ayant reçu une immunothérapie en 1ère ligne, les traitements disponibles en 2ème ligne sont les chimiothérapies, notamment à base de docétaxel.

A ce jour, les patients n'ont donc accès à **aucune thérapie ciblée pour cette mutation en dehors d'une hypothétique inclusion dans un essai clinique ou la possibilité de l'ATU capmatinib** voire de la RTU crizotinib. 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. L'accès précoce, sous réserve de son acceptation, deviendra la seule alternative possible pour la majorité des patients à la fin de l'ATU Capmatinib.

Schéma thérapeutique

Capmatinib est un médicament autorisé sous forme de comprimés pelliculés aux dosages de 150 mg et 200 mg. La posologie recommandée est de 400 mg deux fois par jour jusqu'à progression de la maladie ou jusqu'à arrêt du traitement du fait d'effets secondaires.

Capmatinib peut être pris avec ou sans nourriture (indépendamment des repas, ce qui constitue un confort de prise pour les patients concernés. **Une adaptation de la posologie** peut être prescrite selon la tolérance (3 paliers de dosage).

L'autorisation accélérée de la FDA en mai 2020 s'appuie sur les données de l'essai GEOMETRY mono-1, qui a inclus une cohorte de patients préalablement traités et naïfs de traitement. Chez les patients préalablement traités, l'ORR était de 41 % et la DR médiane était de 9,7 mois.

Les effets secondaires les plus fréquents sont l'œdème périphérique, les nausées, la fatigue, les vomissements, la dyspnée et la diminution de l'appétit. Des cas de maladie respiratoire interstitielle, hépatotoxicité et photosensibilité ont également été rapportés. Les effets indésirables de grade 3 ou 4 les plus fréquemment rapportés : œdèmes périphériques, fatigue et dyspnée.

Compte tenu de la toxicité avérée des taxanes et leur manque d'efficacité dans ce type de cancer, nous pensons que l'obtention d'une ligne de traitement supplémentaire avec le capmatinib serait une réelle opportunité, pour notre association de patients, dans cette maladie rare.

Statut réglementaire :

Une ATU de cohorte a été acceptée le 17 juin 2021 et débutée le 20 septembre 2021.

Le 22 avril 2022, l'EMA a donné un avis positif de **l'AMM Européenne**.

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 mutations exon 14 du c-MET s'observent chez **1 % des patients**. C'est une maladie **rare qui a un facteur de mauvais pronostic**, l'activation du gène c-MET favorisant la croissance tumorale.
- Argument 2 : **Grave** (évolution très fréquemment **fatale**) avec un **besoin médical important** en l'absence de traitement spécifique. Le traitement par taxanes en seconde ligne est un traitement lourd, très difficile en termes de qualité de vie et avec une efficacité qui semble très discutable pour ces types de mutation.
- Argument 3 : _____

→ **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 :**

Pour l'un des patients, l'impact de la maladie sur le physique est qualifié de « *lourd* »

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

NA

– **Activités de la vie quotidienne :**

De même, pour un des patients, l'impact de la maladie sur la vie quotidienne est qualifié de « *lourd* »

– **Mobilité/déplacement :**

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

« *Je suis en arrêt maladie* ».

« *Activité Dépendante de mon état physique qui évolue* »

– **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.

– **Vie sexuelle :**

« *Vie sociale au ralenti* »

– **Vie sociale :**

– **Autres aspects :**

Les impacts psychologiques peuvent être variables :

“Alternance dépression - Etat normal

Pour la famille et les aidants, la maladie est ressentie avec *“Inquiétude, anxiété”* et est *“difficile”*

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 :

Cette mutation est associée à un mauvais pronostic du cancer.

Actuellement, les patients atteints d'un CBNPC, non testés ou testés exon 14 du c-MET, reçoivent en 1ère ligne une chimiothérapie à base de platine et/ou de l'immunothérapie.

Les patients mutés exon 14 du c-MET en 2ème ligne reçoivent généralement une chimiothérapie à base de taxane +/- bevacizumab dans l'attente de l'accès précoce du capmatinib.

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** (avec un nombre de places limité) **ou la possibilité de l'ATU** (d'une durée limitée) **ou de la RTU crizotinib**. 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.

Notre association craint qu'en cas de refus de l'accès précoce du capmatinib signifierait la fin de tout espoir d'accès aux patients porteurs de la mutation exon 14 du c-MET à cette nouvelle thérapie quand les inclusions dans les essais seront closes et à la fin de l'ATU.

La toxicité des taxanes associé au bevacizumab est reconnue, est très dure à supporter pour les patients,

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

- Argument 1 : En 2ème ligne, les taxanes ont une efficacité très limitée.
- Argument 2 : En 2ème ligne, les taxanes ont une toxicité importante réduisant considérablement la qualité de vie des patients.

- Argument 3 :

De plus, le schéma d'administration des taxanes (en HDJ, sur 2 ou 3h, avec prémédication) est contraignant, particulièrement pour les patients dont le centre est éloigné de leur domicile.

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 :

L'exon 14 du c-MET est une mutation rare qui ne dispose pas de traitement cible approuvé actuellement en France. 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. Ce traitement permettrait d'augmenter la survie de ces patients.

De plus, les taxanes et/ou en association proposés en 2ème ligne offrent une efficacité limitée pour une toxicité importante

- Amélioration majeure 2 :

Profil de Tolérance généralement bon : **une qualité de vie plutôt préservée**

- Effets secondaires principaux tous grades confondus : oedème périphérique, nausées, fatigue, vomissements, dyspnée et diminution de l'appétit.
- Effets indésirables de grade 3 ou 4 les plus fréquemment rapportés : oedèmes périphériques, fatigue et dyspnée

-
- Amélioration majeure 3:

Une forme **orale avec deux prises quotidiennes** permet de retrouver de la liberté dans la vie de tous les jours. Le nombre de 2 comprimés et la disponibilité de deux dosages permettent

l'adaptation de la posologie au plus près des effets indésirables éventuellement présentés.

Le **plan de prise est simple et facile à suivre sans contrainte par rapport à l'alimentation** (prise pendant ou en dehors de repas).

De plus, la forme orale est appréciable pour les patients habitant loin de l'hôpital et pour les patients déjà affaiblis par la maladie.

« J'apprécie que ce soit un traitement oral à prendre à la maison ».

- Autres améliorations :

Actuellement, la stratégie thérapeutique dans le CBNPC en première ligne est une combinaison de traitements, ce qui amoindrit le nombre de lignes traitement possibles dans cette pathologie. Une ligne de traitement supplémentaire est une chance de plus de vivre plus longtemps pour les patients en attendant que la recherche avance et que de nouvelles options thérapeutiques puissent voir le jour.

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 :
- Inconvénient principal 2 :
- Inconvénient principal 3 :
- Autres inconvénients :

5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié

Vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients ayant utilisé le médicament étudié, mais souhaitez donner votre point de vue sur ce médicament.

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles seraient les 3 améliorations majeures qui vous permettraient de dire que le médicament étudié vous semblerait **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

- Attente majeure 1 :
- 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
- **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 un 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. ?)**

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**

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.

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 15/9/2021 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, AURA 2022).

Autres sources :

- RTU Crizotinib

https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/202004/xalkori_rtu_reco_autosaisine_has_sem_cteval494.pdf

- https://ressources-aura.fr/wp-content/uploads/2021/03/CBNPC_2021_VDEF.pdf
- https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2020-04/xalkori_rtu_reco_autosaisine_has_sem_cteval494.pdf

→ 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.

→ 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 :

Le CBNPC présentant une mutation de l'exon 14 du gène MET représente un sous-groupe supplémentaire de cancers du poumon ***rare et associé à un pronostic médiocre et sans aucun traitement ciblé approuvé à ce jour.***

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 en 2eme ligne pour les patients dont le cancer présente cette mutation.

Le schéma de prise est simple, l'adaptation de dose possible. La qualité de vie est améliorée par ce traitement pris à domicile.

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.

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.