

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 sigle¹ : ENSEMBLE LEUCÉMIE LYMPHOMES ESPOIR (ELLyE)

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

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national, association agréée au niveau régional, association non agréée ; groupe de patients ou usagers du système de santé ; autre dénomination de structure

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

2127 membres

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

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : _____

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

Nom commercial* : Yescarta

Dénomination commune internationale (DCI)* : Axicabtagène ciloleucel

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Yescarta est indiqué dans le traitement des patients adultes atteints de lymphome diffus à grandes cellules B (LDGCB), réfractaires ou en rechute dans les 12 mois après la fin d'un traitement de première ligne et éligibles à une chimiothérapie de rattrapage suivie d'une chimiothérapie d'intensification en vue d'une autogreffe de cellules souches hématopoïétiques.

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

L'indication nous paraît pertinente car les patients réfractaires aux traitements standards par immunochimiothérapie ou qui rechutent très rapidement après la première ligne sont ceux dont les perspectives de survie sont les plus mauvaises. Néanmoins, il existe un besoin thérapeutique non satisfait plus important encore chez les patients non-éligibles à une autogreffe de cellules souches, car plus âgés et/ou plus fragiles. Il est donc regrettable qu'ils n'aient pas été inclus dans l'essai Zuma 7 et qu'ils soient de ce fait exclus de l'indication.

3. Impact de la maladie sur la personne concernée et ses proches

Il n'est pas utile de rappeler ce qu'est la maladie.

Décrivez ci-dessous les conséquences essentielles de la maladie sur la qualité de vie des personnes concernées ou de leurs proches et les traitements actuels lorsqu'ils existent.

Vous pouvez répondre partiellement aux rubriques concernées.

→ Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?

- Argument 1 : Le lymphome diffus à grandes cellules B est une forme fréquente de lymphome non hodgkinien mais seuls 30% à 40% des patients sont réfractaires aux traitements standards (immunochimiothérapie) ou rechutent très rapidement. Parmi ces patients, moins d'un sur deux environ est éligible à l'autogreffe. Le nombre de patients concernés en France est donc très faible.
- Argument 2 : Les chances de survie de ces patients sont particulièrement mauvaises. Ainsi, dans l'essai Zuma 7, la survie médiane des patients recevant un traitement standard (bras de contrôle) était de moins de 3 ans.

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

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

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

La fatigue est un symptôme dont se plaignent 88 % des patients interrogés. Il s'agit d'une fatigue intense puisque 48 % des patients interrogés estiment leur fatigue entre 6 et 8 sur une échelle de 10, Il s'agit également d'un état durable pour 68 % des répondants, pour qui cette fatigue a duré plus d'un an (voire plus de 8 ans dans certains cas). Certains patients témoignent d'ailleurs d'une « grande fatigue permanente ».

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

N/A

– **Activités de la vie quotidienne :**

Pour 64 % des patients interrogés, la maladie a eu un impact sur les activités de la vie quotidienne (capacité à faire ses courses, activités ménagères, activité physique, etc.). Certains patients témoignent d'une « vie au ralenti à cause de la fatigue » ou encore de leur incapacité à faire du sport.

– **Mobilité/déplacement :**

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

L'impact de la maladie sur l'activité professionnelle des patients en âge de travailler est très important. Alors que 56 % des patients interrogés étaient à la retraite, 40 % des répondants à l'enquête indiquent que la maladie et les traitements ont eu un impact sur leur capacité à travailler, avec des conséquences financières notables, ce qui est confirmé par les témoignages des patients : « Arrêt activité professionnelle, perte financière », « Arrêt du travail. Perte de revenu. (...) Situation financière difficile. », « Perte de la moitié de mon salaire ».

– **Vie affective :**

Seuls 12 % des répondants indiquent que la maladie a eu un impact négatif sur leur vie de couple ou leur vie affective. Les témoignages des patients indiquent combien le soutien du conjoint et de la famille en général est essentiel pour le patient, avec néanmoins un impact sur la vie des proches : « Tout l'entourage (du patient) est très investi pour lui apporter le soutien », « Conjoint en arrêt pour soutien moral et gestion de la vie pratique », « Proches fatigués, avec des contraintes pour s'occuper du patient. »,

– **Vie sexuelle :**

– **Vie sociale :**

Seuls 32 % des répondants indiquent que la maladie a eu un impact négatif sur leur vie sociale. Néanmoins, certains répondants témoignent d'un profond isolement : « Vie sociale mise en attente. », « Les précautions d'hygiène ont empêché une vie sociale normale. », « Mise en retrait de la vie sociale ».

– **Autres aspects :**

L'impact psychologique de la maladie chez les patients est très important. **77 % des patients interrogés disaient craindre une rechute de leur lymphome et 52 % une progression de la maladie.** Cette crainte est d'autant plus forte chez les patients qui ont connu une rechute précoce ou qui sont résistants aux traitements. Sans surprise, 35 % des patients interrogés souffrent d'anxiété et/ou de dépression et près de la moitié des répondants (48 %) sont préoccupés par leur changement d'apparence physique.

Les témoignages des patients illustrent bien la situation psychologique de certains patients et de leurs proches : « Psychologiquement, il est très difficile de ne pas penser la maladie et à votre fragilité tout le temps. Il faut être très occupé. Mais on a toujours peur que le cancer revienne. », « 2 ans 1/2 de traitements, d'espoirs déçus, d'échecs thérapeutiques, c'est long. Surtout pour mes 3 enfants qui souffrent de me voir comme cela. »

Enfin, soulignons que 32 % des patients interrogés ont des douleurs physiquement du fait de la maladie.

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 options de traitement actuelles pour le LDGCB en rechute ou réfractaire comprennent une chimiothérapie de rattrapage suivie d'une chimiothérapie à haute dose et d'une autogreffe de cellules souches. Cependant, environ la moitié des patients n'est pas éligible à l'autogreffe (moyenne d'âge de 70 ans), sachant que la majorité des patients qui en bénéficient rechutent dans les 12 mois. Par ailleurs, moins de la moitié des patients éligibles sur la base des critères d'âge et de santé globale peuvent effectivement bénéficier d'une autogreffe car ils sont réfractaires à la chimiothérapie nécessaire au conditionnement des patients.

Parmi les témoignages recueillis dans notre enquête, 2 des 4 patients éligibles à l'autogreffe indiquent qu'elle n'a finalement pas pu être réalisée : « Pas pu y avoir accès car rechute trop rapide », « Elle était envisagée mais la maladie n'était pas stabilisée. ». Quant aux 2 autres, ils témoignent de son inefficacité et des risques qu'elle présente : « Autogreffe avec rémission quelques mois et nouvelle récurrence », « Rémission complète avant l'autogreffe. Rechute précoce. Cette 2e ligne paraît inutile a posteriori, d'autant que j'ai failli mourir en autogreffe, mais cela m'a permis d'attendre les Car T cells. »

Chez les patients non éligibles à la greffe, le traitement de deuxième ligne repose sur une immunochimiothérapie à base de platine et/ou gemcitabine (notamment les protocoles R-GemOx ou R-DHAP non suivis d'une intensification et autogreffe).

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

- Argument 1 : Les options de traitement chez les patients dont la maladie est réfractaire aux traitements standards (par chimiothérapie en particulier) ou qui rechutent de façon précoce après une ligne de traitement sont très limitées et peu efficaces, en particulier pour les patients chimio-résistants.
- Argument 2 : La multiplication des lignes de traitement a pour conséquence une accumulation d'effets indésirables, qui est d'autant moins justifiée que ces traitements ne sont pas efficaces.
- Argument 3 : L'autogreffe est un traitement particulièrement lourd pour les patients, en raison notamment de l'isolement. C'est également un traitement très risqué.

5. Le médicament étudié en vue d'un remboursement dérogatoire dans le cadre d'une autorisation en accès précoce

Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement (par exemple, au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur), remplir la rubrique « 5.1. L'expérience avec le médicament étudié » et expliquer la méthode avec laquelle vous avez recueilli cette expérience dans la rubrique « 8. Méthodes. »

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, remplir la rubrique « 5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié ».

La Haute Autorité de santé évaluera le caractère innovant, notamment au regard des changements substantiels que cette nouvelle modalité de prise en charge apporte aux patients. Il est important d'identifier ce qui peut constituer du point de vue des personnes un changement substantiel au regard de l'impact de la maladie sur la qualité de vie.

Les catégories suivantes sont proposées à titre indicatif. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients majeurs qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé du patient, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave*
- *la qualité de vie du patient (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives),*
- *la qualité de vie de ses proches,*
- *l'usage de ce traitement,*
- *le parcours de santé et de vie du patient*
- *autres.*

5.1 L'expérience avec le médicament étudié

Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement

Ne remplir cette partie que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quelles sont les 3 améliorations majeures qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble **innovant** par rapport aux traitements actuels ?

- Amélioration majeure 1 :

Avertissement : Les répondants à l'enquête patients ont, pour la plupart, été traités par Yescarta au-delà de la 2^e ligne de traitement.

Une majorité de patients témoignent d'une rémission ou réponse complète, et/ou d'une disparition du lymphome, alors qu'ils étaient jusque-là en échec thérapeutique : « Au 1^{er} scan des 30 jours il n'y a plus de trace de lymphome », « Rémission complète à ce jour après échec de tous les traitements car lymphome réfractaire donc 100% de bénéfices ! », « diminution et disparition du ganglion ».

- Amélioration majeure 2 :

- Amélioration majeure 3:

- Autres améliorations :

Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Ne remplir que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quels sont les 3 principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié identifiés par les patients, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

- Inconvénient principal 1 :

Les principaux effets indésirables dont témoignent les patients sont les syndromes de relargage cytokinique, qui nécessitent un séjour en réanimation, et des troubles neurologiques importants : « Passage en réanimation pour graves effets neurologiques ».

- Inconvénient principal 2 :

Plusieurs patients font également référence à la durée de l'hospitalisation et au sentiment d'isolement, surtout pour les patients traités loin de chez eux : « 70 jours d'hospitalisation dont 1,5 mois d'aplasie et toutes les conséquences qui en découlent », « Je me suis senti bien isolé car le CAR-T'était seulement disponible à une distance de 380 kilomètres, donc pas de visites ! », « 5 semaines en chambre stérile très difficiles ».

- Inconvénient principal 3 :

Fèvre, infections et une très grosse fatigue persistante sont également mentionnées par de nombreux patients.

- Autres inconvénients :

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

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

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

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

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

- Attente majeure 1 :

La principale attente des patients par rapport à ce traitement est la guérison ou, à défaut, une réponse métabolique complète qui se maintienne le plus longtemps possible : « Rester vivant et sans traitement le plus longtemps possible », « J'espère guérir grâce aux Car-T cell ».

- 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 :

La principale crainte mise en avant par les patients est le risque de récurrence, en raison du manque de recul sur la durée d'efficacité du traitement : « Risques de rechutes à long terme », « Je ne sais pas la durée de vie des CAR-T cells dans l'organisme », « Manque de recul sur l'efficacité du traitement à long terme ».

- Crainte principale 2 :

|

- Crainte principale 3 :

|

- Autres craintes :

|

6. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé

La HAS peut décider de transmettre le projet de Protocole d'utilisation thérapeutique (**sous engagement de confidentialité**) – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations **ou groupes** d'usagers **du système de santé**. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

→ Quels sont les 3 types d'informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement ?

- Type d'information 1 : |
- Type d'information 2 : |
- Type d'information 3 : |

→ Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs²) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?

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

|

→ Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

|

→ 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 ?

|

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.

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.

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

Nos commentaires font l'objet de notes dans le PUT-RD que nous avons relu et qui se trouve en PJ.

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple analyse du projet de protocole d'utilisation thérapeutique-recueil de données, enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, ligne téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

- **Selon quelle méthode avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles (§4) ?**

La première source d'information sont les résultats de l'enquête 2020 de la Lymphoma Coalition sur l'expérience des patients souffrant d'un lymphome ou d'une LLC. Seules les réponses des patients atteints de lymphome diffus à grandes cellules B ayant rechuté après une ligne de traitement (27 patients pris en charge en France) ont été utilisées pour rédiger cette contribution.

Nous avons également utilisé les résultats d'une enquête en ligne (questionnaire SurveyMonkey) sur l'utilisation des thérapies par CAR-T cells pour la prise des lymphomes diffus à grandes cellules B, qui avait été ouverte en janvier 2020 dans le cadre de la première réévaluation des traitements par CAR-T cells par la HAS. Seules les réponses des patients traités par Yescarta ont été prises en compte (44). Les réponses des patients et proches ont été recueillies sur une durée de 2 ans, de janvier 2020 à janvier 2022.

- **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 nous sommes entretenus avec deux hématologues ayant participé à l'étude Zuma7 et nous avons utilisé les réponses à notre questionnaire en ligne concernant l'expérience des patients avec le traitement. Le laboratoire n'a eu aucun rôle dans le recueil de l'expérience des patients

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

- ☒ Oui
- ☐ Non

- **Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?**

Charlotte Roffiaen, Responsable du plaidoyer d'ELLYE

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

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

9. Synthèse

Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuelles sont (in) adéquates parce que ...
Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que...

Votre réponse :

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont :

- La fatigue : 88 % des répondants s'en plaignent. Il s'agit d'une fatigue intense puisque 48 % des patients estiment leur fatigue entre 6 et 8 sur une échelle de 10, Certains témoignent d'une « vie au ralenti à cause de la fatigue » et pour 64 % d'entre eux, la maladie a eu un impact sur les activités de la vie quotidienne.
- L'impact psychologique de la maladie est très important et nuit gravement à la qualité de vie des patients : 77 % des patients interrogés disaient craindre une rechute de leur lymphome et 52 % une progression de la maladie. Cette crainte est d'autant plus forte chez les patients qui ont déjà connu une rechute précoce ou qui sont résistants aux traitements. Sans surprise, 35 % des patients interrogés souffrent d'anxiété et/ou de dépression
- Les répercussions de la maladie sur l'activité professionnelle des patients en âge de travailler sont fortes : 40 % des répondants à l'enquête indiquent que la maladie et les traitements ont eu un impact sur leur capacité à travailler, avec des conséquences financières parfois considérables, notamment pour les professions libérales.
- La vie quotidienne et professionnelle des proches est également affectée par la prise en charge des patients : « Conjoint en arrêt pour soutien moral et gestion de la vie pratique », « Proches fatigués, avec des contraintes pour s'occuper du patient. »,

Les chances de survie des patients dont la maladie est réfractaire aux traitements standards par immunochimiothérapie ou qui rechutent de façon précoce après une ligne de traitement sont particulièrement mauvaises. Ainsi, dans l'essai Zuma 7, la survie médiane des patients recevant un traitement standard était de moins de 3 ans. Les options de traitement chez ces patients sont très limitées et peu efficaces, en particulier pour les patients chimio-résistants. Moins de la moitié des patients éligibles sur la base des critères d'âge et de santé globale peuvent effectivement bénéficier d'une autogreffe car ils sont réfractaires à la chimiothérapie nécessaire au conditionnement. En outre, la majorité des patients qui en bénéficient rechutent dans les 12 mois.

L'efficacité du Yescarta en termes de réponse complète est très nettement supérieure à celle des traitements standards du bras de contrôle dans l'essai clinique Zuma7 (65 % contre 32 %). Il s'agit donc d'une option de traitement importante pour des patients en impasse thérapeutique, en particulier les patients chimiorésistants pour lesquels l'autogreffe est exclue. Néanmoins, on ne dispose pas encore des données relatives à l'efficacité du traitement en termes de survie globale. Or il s'agit d'une donnée cruciale pour les patients, dont l'espoir est la guérison ou au moins une rémission de longue durée. Cette donnée est d'autant plus importante qu'il s'agit d'un traitement lourd, avec une neurotoxicité importante. Le suivi de moyen / long terme des patients traités dans le registre DESCAR-T est donc essentiel.

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.