

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 :

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

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

Nous avons proposé un questionnaire qui a été complété par 10 patientes concernées sur la période du 08/09/2022 au 15/09/2022.

Profils des répondantes :

- 70% ont entre 35 et 54 ans
- 30% ont plus de 55 ans
- 90% vivent dans une ville moyenne et dans différentes régions de métropole
- 60% sont soignées en Centre de Lutte contre le cancer
- 40% sont soignées en CHU ou clinique
- 30% sont atteintes d'un cancer du sein métastatique de novo
- concernant les répondantes qui ont subi une rechute : 4 ont récidivé dans les deux ans de leur diagnostic initial, 1 dans les 5 ans, 1 dans les 10 ans et la dernière au-delà des 10 ans
- 6 répondantes sont atteintes d'un cancer du sein métastatique hormonodépendant et HER 2-faible tandis que 2 ont un cancer du sein métastatique triple négatif avec un HER2 Faible, et les deux dernières ne connaissent pas leur type de cancer mais sont traitées par l'ENHERTU.

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

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : Sauf si souhaitée par la commission et sous réserve de disponibilité

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

Nom commercial* : ENHERTU®

Dénomination commune internationale (DCI)* : TRASTUZUMAB DERUXTECAN

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

ENHERTU® en monothérapie est indiqué pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein HER2 faible (IHC 1+ ou IHC 2+/ISH-) non résécable ou métastatique qui ont reçu un traitement systémique antérieur au stade métastatique ou qui ont développé une récurrence de la maladie pendant ou dans les 6 mois suivant la fin d'une chimiothérapie adjuvante. Les patients atteints d'un cancer du sein avec des récepteurs hormonaux positifs (RH+) doivent aussi avoir reçu ou être éligibles à une hormonothérapie

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

Epidémiologie

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

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

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

Environ 15 % des cancers du sein infiltrants sont caractérisés par une surexpression de la protéine HER2 résultant d'une amplification du gène *ERBB2*. Les tumeurs HER2-faibles sont fréquentes et représentent plus de la moitié des cancers du sein (Source : Bulletin du Cancer [Volume 108, Issue 11, Supplement](#), December 2021, Pages 11S1-11S7).

En France, 5 000 femmes seraient concernées par ce nouveau standard thérapeutique. (source site internet ICM : <https://www.icm.unicancer.fr/fr/actualites/cancer-du-sein-un-nouveau-standard-therapeutique>).

Les tumeurs HER2-faibles sont définies comme celles dont les cellules contiennent des niveaux inférieurs de protéine HER2 à leur surface. Ces tumeurs représentent environ 50 à 60 % de tous les cancers du sein. Un test de laboratoire appelé immunohistochimie est utilisé pour déterminer si HER2 est présent à de faibles niveaux dans une biopsie tissulaire. Dans le cancer du sein HER2-positif et dans d'autres cancers qui surproduisent HER2, l'excès de HER2 sur les cellules tumorales entraîne la croissance du cancer. Le rôle de la protéine HER2 dans les tumeurs HER2-faible n'est pas encore élucidé. Les tumeurs à faible taux de HER2 ont traditionnellement été classées comme HER2 négatives car les médicaments existants ciblant HER2 n'étaient pas efficaces pour les traiter. Ainsi, jusqu'à présent, les cancers HER2-faible étaient traités comme s'ils étaient HER2-négatifs. (source National Cancer Institute - NIH : <https://www.cancer.gov/news-events/cancer-currents-blog/2022/enhertu-her2-low-breast-cancer>)

Schéma thérapeutique

Actuellement, il n'existe pas de schéma thérapeutique spécifique pour les cancers du sein HER2 faible. Deux nouvelles sous-catégories en découlent : les cancers triples négatifs HER2 faible et les cancers hormonodépendants HER2 faible.

Cependant, nous pouvons évoquer la prise en charge actuelle des cancers du sein métastatique :

- RH+ et HER2 négatif : l'hormonothérapie seule et la chimiothérapie sont les traitements classiques, ensuite les thérapies ciblées CDK4/6 sont associées à l'hormonothérapie
- Triple négatif (TNBC) : les chimiothérapies sont le standard de traitement, ensuite un anticorps conjugué (TRODELVY®) est prescrit ainsi que de l'immunothérapie.

Statut réglementaire

Le 5 août 2022, la Food and Drug Administration (FDA) a approuvé le trastuzumab deruxtecan (Enhertu®) pour le traitement des cancers du sein HER2-low qui ne peuvent pas être enlevés chirurgicalement ou qui se sont propagés (métastases) ailleurs dans le corps. Avant de recevoir le trastuzumab deruxtecan, les personnes doivent avoir soit :

- déjà reçu une chimiothérapie pour un cancer du sein métastatique, ou

- vu leur cancer réapparaître pendant ou dans les 6 mois suivant la fin de la chimiothérapie administrée après la chirurgie.

La FDA a pris sa décision sur la base des résultats de l'essai DESTINY-Breast04

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 : Rare : Les cancers du sein métastatique avec l'identification du statut HER2 Faible concerneraient environ 5 000 patients par an en France.
- Argument 2 : Grave : les cancers du sein métastatiques ne sont pas à l'heure actuelle guérissables
- Argument 3 : Invalidante : Les conséquences physiques et psychiques du cancer métastatique et des traitements ont un impact délétère sur les patients

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

Il ressort beaucoup d'anxiété et d'inquiétude des personnes malades et de leurs proches. La maladie peut avoir un impact délétère sur les relations avec les proches mais aussi financièrement. Cette charge financière se rajoute à la charge mentale de la maladie métastatique.

« je ne serais plus jamais comme avant que ce soit physiquement ou mentalement, et c'est ça le plus dur, l'accepter et continuer à vivre, à vivre bien »

« mon mari se sent impuissant, il a peur de l'avenir, les enfants ont une force de vivre et du positivisme, ils s'adaptent à toutes les situations. »

« Tout le monde semble le vivre correctement, de la colère qui s'apaise pour ma fille, du fatalisme pour mon fils, un peu de déni pour mon mari et ma mère, des amis toujours présents »

« Certains n'osent pas me poser de questions sur comment je vis tout ça, nos amis c'est là qu'on les voit »

« Difficultés financières entre la sécu les achats en plus » « le coût des produits de beauté, d'hygiène, de soins de support qui sont indispensables à notre bien être et pas du tout pris en charge »

« Difficulté à se projeter et moral en dent de scie »

« sous prozac mais liée à l'absence de franchise de mon oncologue sur mon espérance de vie, j'aurai fait d'autre choix de vie »

– Fatigue intellectuelle ou physique :

La fatigue est très présente et est ressentie fortement par 87.5% des répondantes.

« la fatigue perturbe mon quotidien pendant 5 jours » « fatigue liée aux traitements, sommeil perturbé »
« fatigue, nausées » « très fatiguée et une certaine lassitude » « fatigue les 3 jours suivant l'injection »
« fatigue chronique et perte d'autonomie induite » « difficultés à l'endormissement »

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

Non applicable

– **Activités de la vie quotidienne :**

Il ressort des réponses données que tout ce qui touche à l'alimentation est très présent notamment à cause des nausées et vomissements ressentis par 87.5% des répondantes.

« Dégoût de certains aliments » « Perte de goût, je fractionne les repas »
« Besoin de plus d'aide pour la gestion des enfants et de la maison »
« Remontées gastriques, moins d'activités quotidiennes »
« je fais ce que je peux quand je peux »
« je fais beaucoup plus attention à mon alimentation, j'ai arrêté le sucre raffiné, arrêté de fumer, boire. Je fais également attention aux produits d'hygiène et de beauté que j'achète »
« alimentation moins grasse et plus de boisson gazeuse » « avec la perte de goût je fractionne les repas »
« difficultés à l'endormissement, mal dans les muscles jambes, vomissement les 1 ers jours du traitement »

– **Mobilité/déplacement :**

Les répondantes à notre enquête mettent en avant une grande fatigue liée à la maladie et aux traitements antérieurs et en cours, cette fatigue a donc des conséquences sur leur mobilité et le besoin d'aide pour se déplacer.

« je n'ose pas m'absenter trop loin de mon domicile, ni à l'étranger »
« je ne conduis pratiquement plus mon véhicule (problèmes de concentration, de réflexes), donc je dépends beaucoup de mon mari pour me déplacer pour les grosses courses, les activités de loisirs »
« J'ai des difficultés à rester debout » « Fatigue vite : monter les marches »
« je ne peux plus conduire » « douleurs aigües, mobilité réduite et perte d'autonomie »

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

Aucune des répondantes n'est pour l'heure en activité professionnelle, cependant certaines ont l'objectif de pouvoir le reprendre à moyen terme.

« fin d'activité professionnelle » « trop de fatigue pour reprendre le travail » « je ne travaille plus »
« j'ai repris le travail un an après le début des traitements, les métastases ont disparues et dont revenues en juin 2022, à ce moment là j'étais en 80% en temps partiel thérapeutique, avec la rechute je suis en arrêt et il m'est impossible de travailler car trop d'effets secondaires »
« en arrêt depuis 2 ans et demi, souhaite reprendre le travail mais pas facile avec les traitements et les effets secondaires »
« en arrêt de travail depuis 10 mois mais j'ai la chance d'avoir de supers collègues qui restent en lien avec moi, pareil pour mes amis et ma famille »

« je suis en invalidité. Côté activités, je ne peux plus m'engager dans des activités régulières sur une année comme je le faisais il y a quelques années car mon état est instable. Je dois constamment m'adapter à la forme du jour et se projeter est faisable mais compliqué »

– **Vie affective :**

Le diagnostic d'un cancer métastatique et son traitement affecte la vie affective des patientes dans la majorité des cas.

« dégradation de l'estime de soi » « plus de vie affective ni sexuelle, ce n'est plus ma priorité »

« je suis très bien entourée et soutenue par mon mari » « aucun changement »

– **Vie sexuelle :**

La sexualité est aussi très perturbée et de façon exceptionnelle sans impact.

« sécheresse, baisse de la libido » « la libido et le plaisir sont énormément perturbés, sécheresse vaginale »

« je n'ai pas de vie sexuelle et j'ai autre chose à penser »

« je n'ai pas de souci dans ce domaine »

– **Vie sociale :**

Confer : vie quotidienne activité professionnelle impact sur les proches

– **Autres aspects :**

L'aspect psychologique de l'urgence de vivre et de l'impossibilité de se projeter est un aspect très présent dans le quotidien des malades atteints de cancers métastatiques.

« Urgence de vivre l'instant » « Vivre sur 3 mois entre chaque tepsan sans connaître l'avenir est pesant »

« dépression, je ne fais plus aucun projet hors celui de ma succession pour mon fils » « moral fluctuant au rythme des traitements, des très hauts quand les effets secondaires se calment, et des très bas quand les effets secondaires sont difficiles à supporter »

« le grand changement est l'agressivité, je m'en rendais compte mais je ne contrôlais rien »

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 :

- RH+ et HER2 négatif : l'hormonothérapie seule et la chimiothérapie sont les traitements classiques, ensuite les thérapies ciblées CDK4/6 sont associées à l'hormonothérapie
- Triple négatif (NBC) : les chimiothérapies sont le standard de traitement, ensuite un anticorps conjugué (TRODELVY®) est prescrit ainsi que de l'immunothérapie.

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

- Argument 1 : Efficacité aléatoire de l'hormonothérapie et thérapie ciblée CDK4/6 à cause de l'hormonorésistance
- Argument 2 : Les toxicités très importantes des chimiothérapies successives
- Argument 3 : une médiane de survie faible pour les cancers du sein métastatiques triple négatif

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 :
 - **Contenir la progression des métastases voire les faire disparaître**

« ce traitement a permis la stabilité de la maladie » « réponse complète » « amélioration rapide de mon bilan biologique »

« son efficacité est avérée dans mon cas car la majorité des lésions ont réduit voire disparu pour certaines »

- Amélioration majeure 2 :
 - **Traiter spécifiquement les cancers du sein HER 2 faible**

« permet de traiter les cancers her2 faiblement positif »

- Amélioration majeure 3:
 - **Des effets indésirables présents mais gérables sur la durée**

« peu d'effets secondaires » « très peu, voire pas d'effets secondaires »

« pas de perte de cheveux, pas de perte d'ongles »

- Autres améliorations :
 - **Une durée d'injection optimale**

« durée de l'injection très courte »

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 :
 - **Accessibilité du traitement en 2de ligne uniquement en essai clinique**
- Inconvénient principal 2 :
 - **Des effets indésirables très perturbants dans les 1ers mois de traitement**
 - 75% des répondantes précisent qu'ils sont apparus dans les 1 ers jours puis de façon aléatoire, et ont été pris en charge par des traitements symptomatiques pour 5 répondantes des cas et une réduction de dose pour 2 répondantes
 - 1 répondante a dû arrêter temporairement le traitement
- 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'utilisateurs du système de santé**. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

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

- **Type d'information 1 :** La nature des effets indésirables, leur durée, leur niveau d'impact sur la qualité de vie notamment l'intensité des nausées et vomissements , et leur prise en charge
- **Type d'information 2 :** Renseigner les pauses de traitement : quand, pourquoi, pour quelle durée
- **Type d'information 3 :** Proposition de recueil de données de qualité de vie réelle

→ **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 Breast QLQ-LC..... sont les questionnaires PROMs de qualité de vie utilisés dans les essais cliniques de phase 3. Néanmoins, ces questionnaires ne nous semblent pas adaptés au recueil de données de vie réelle pour le patient.

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

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

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 un avis sur les mesures de gestion des risques qui vous semblent nécessaires et acceptables à prendre pour les patients qui recevront ce médicament ?**

- Précautions lors de l'administration : couvrir la poche à perfusion pour la protéger de la lumière , ne pas administrer en injection intraveineuse,
- Les effets indésirables : surveillance rapprochée lors de la 1^{ère} injection intra-veineuse quant aux risques de réaction liées à la perfusion, et échanges téléphoniques avec l'infirmière du service d'oncologie dans les 2/ 3 jours suivant la perfusion quant aux effets indésirables (vomissements, symptômes de pneumopathie interstitielle)
- Risque de confusion de médicament : plusieurs médicaments comportent du trastuzumab : attention au risque d'erreur d'administration : le nom du médicament doit être vérifié par l'infirmière en lien avec le patient

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

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

→ **Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?** (NB : le PUT-RD ne peut être communiqué qu'à des membres d'associations uniquement s'ils sont habilités à représenter l'association en tant que personne morale)

non

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

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

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

Les données scientifiques publiées sur les sites officiels : HAS, ANSM, INCA, Centres de Lutte contre le Cancer, Unicancer, EMA, ...

→ **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 ?**

Questionnaire établi et recueilli par Patients en Réseau, auprès des patientes concernées. Ce questionnaire est basé sur les points abordés par le questionnaire de recueil du point de vue des patients proposé par la HAS. Ce questionnaire a été mis en ligne sur le réseau fermé « Mon Réseau cancer du sein », et sur les réseaux ouverts Facebook, Instagram.

→ **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 ?**

L'association Patients en Réseau a constitué un groupe « Accès précoce et contribution » composé de 4 patients experts de ses réseaux.

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

L'association Patients en Réseau 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 :

Depuis plus de 10 ans, les cancers du sein sont classés de façon dichotomique en HER2-Positifs traités par les thérapies anti-HER2 et les HER2-Négatifs. De nouvelles perspectives thérapeutiques très prometteuses notamment de nouvelles drogues cytotoxiques conjuguées à des anti-corps anti-HER2, incitent à mieux identifier les tumeurs HER2-Faibles afin d'identifier les patientes qui pourraient en bénéficier. Ainsi, la classification des tumeurs du sein évolue vers l'identification des HER2-Négatives (score 0), des tumeurs HER2-Positives (score 3+ et 2+ amplifiés) et des tumeurs HER2-Faibles (scores 1+ et 2+ non amplifiés). Ainsi, les tumeurs HER2-Faibles sont fréquentes et représentent plus de la moitié des cancers du sein. Pour les identifier, les laboratoires de pathologie doivent rien modifier à leur technique habituelle calibrée selon les recommandations de l'ASCO (American Society) et du GEPICS (Unicancer).

Cette nouvelle dénomination va permettre à très court terme de bien repérer les patientes dont les tumeurs entrent dans cette catégorie et proposer de nouvelles options thérapeutiques telles que l'ENHERTU®.

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 GUEROULT ACCOLAS
- Fonction : Directrice et Fondatrice de l'association Patients en Réseau
- Adresse électronique : lga@patientsenreseau.fr
- Téléphone : 06.28.28.22.40

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

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

Mon réseau® cancer du sein est un réseau social sécurisé, anonymisé, modéré et gratuit qui favorise le partage et le soutien entre malades ou proches. Il facilite également l'accès aux professionnels et associations de proximité, l'accès à une information utile et fiable, la connaissance des événements, conférences et ateliers de proximité. En raison de la fréquence des cancers du sein, du développement de l'ambulatoire et des thérapies orales, le besoin de communication reste crucial pour limiter le sentiment d'isolement des patient(e)s. Mon réseau® cancer du sein, c'est un « facilitateur » du parcours à chaque étape de la maladie ! Par cette initiative, l'association Patients en réseau participe à améliorer la qualité de vie ou le mieux-être des patient(e)s et des proches pendant l'épreuve des soins et la période délicate de l'après-cancer. Le site internet est accompagné d'une application mobile qui s'adapte aux besoins de connexion en mobilité de nos utilisateurs.

Voici les principaux bénéfices apportés par le réseau :

- Rompre l'isolement des personnes en favorisant le partage
- Se sentir accueillie quel que soit son lieu de vie ou de traitements et à tout moment.
- Favoriser la compréhension de sa maladie et ses traitements, trouver les informations utiles pour traverser et vivre au mieux cette épreuve
- Trouver des adresses pertinentes et de proximité
- Être au courant de ce qui se passe, près de chez soi

L'esprit de Mon réseau® cancer du sein, c'est un réseau en ligne qui permet de revenir au lien concret, à la proximité, pour aider à mieux vivre au quotidien avec la maladie et les soins. Dans la continuité de son objet,

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'association Patients en réseau a lancé, en Novembre 2017 Mon réseau® cancer du poumon, en 2019 Mon Réseau® Cancer gyneco et en Juillet 2020 Mon Réseau® Cancer Colorectal.

→ Composition des associations non agréées et nature des groupes d'usagers

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
- Secrétaire Générale Adjointe : Véronique Bernad
- 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** : Le budget de fonctionnement total de l'association pour l'année de 2021 est de 380 444 €. Les ressources de l'association Patients en Réseau sont constituées des cotisations et dons de soutien de ses membres, des dons accordés par des partenaires industriels et de sociétés privées pour les projets sur les cancers du sein, du poumon, gynécologiques et colorectaux. L'association intervient également en qualité de prestataire de service notamment dans le cadre de conférences, d'enquêtes et de travaux de publication.
- **Budget total de l'association pour l'année en cours** : Le budget de l'association pour l'année 2022 est de 570 000 €. En tant que porteur de l'article 51, AKO@dom PICTO, l'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, ci-après détaillés :		
2021	Adhérents et soutiens de particuliers	14 990	1%

Soutiens institutionnels privés ou associations. Ce poste comprend notamment les dons des laboratoires pharmaceutiques. Les dons proviennent de 16 entreprises ou associations différentes, aucun donateur ne représentant plus de 8.7% de ressources	252 000	21%
Prestations de services : ces projets sont réalisés pour 31 clients et partenaires différents, aucun ne représentant plus de 13.8% de ressources	193 142	41%
Projets non lucratifs et notamment parcours d'accompagnement de patients	113 160	37%

➔ **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.