

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 : Collectif Triplettes Roses

Adresse du siège* : 188 avenue de Rosenfeld – 77550 Moissy-Cramayel

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 :

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

L'association Collectif Triplettes Roses compte 200 adhérents

L'association est suivie sur les réseaux sociaux (Abonnés Facebook : 2.800 / Instagram : 2.000 / LinkedIn : 1.400)

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : OUI nous aimerions MAIS malheureusement nous sommes confrontés à un problème de capacité à faire pour préparer cette audition

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

Nom commercial* : ENHERTU

Dénomination commune internationale (DCI)* : T-DXd (Trastuzumab Deruxtecan)

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein HER2 faible non résécable ou métastatique prétraités au stade métastatique ou en rechute après une chimiothérapie adjuvante

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

Etant une association de femme atteintes d'un cancer du sein Triple Négatif, nous allons répondre par rapport à cette population ayant un HER2 Faible.

Les femmes atteintes d'un cancer du sein triple négatif ont un pronostic défavorable si la maladie devient métastatique. C'est l'un des cancers les plus difficiles à soigner avec un taux élevé de récurrences. Les patientes ont souvent moins de 40 ans. Elles sont dans la fleur de l'âge autant privée que professionnelle.

Même si de nouvelles thérapies sont arrivées dernièrement, l'espérance de vie reste courte et aucune guérison n'est possible au stade métastatique.

ENHERTU représente un réel espoir supplémentaire pour nombre de patients touchés par le cancer du sein triple négatif, une chance inestimable de vivre plus longtemps.

Avoir accès à ENHERTU peut être l'espoir de la dernière chance pour certaines triplettes éligibles.

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 : Cancer de mauvais pronostique avec une espérance de vie courte en situation métastatique, par exemple : Atteinte hépatique non stabilisée, gros risque de diffusion
- Argument 2 : Pas l'impression que ce soit si rare et des femmes très jeunes en décèdent
- Argument 3 : Invalidité pour le travail fréquente suite aux effets secondaires et à la pression psychologique

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

P1 : Peur de la mort pour tout le monde, difficultés des proches à savoir que faire, que dire

P2 : Impact important sur toute la famille, il est très compliqué d'organiser des choses courantes (vacances, weekend etc..) à cause des différents rdv proposés n'importe quand. Il est très compliqué de prévoir quelque chose.

P3 : grosse fatigue physique, perte d'appétit, activité très limitée, mobilité cela dépend des jours mais ça reste très difficile

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

P1 : Fatigue physique brutale, maladies concomitantes, immunodépression ?

P2 : La fatigue est très difficile à gérer et à prévoir, par exemple un jour ça va et le lendemain pas , une grande fatigue est présente. Intellectuellement, bcp de trouble de la mémoire du fait du flots d'informations.

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

– **Activités de la vie quotidienne :**

P1 : Fortement réduites, dépendance pour les déplacements, trop de fatigue pour faire du sport, vie sociale fortement réduite

P2 : Les activités dépendent complètement du niveau de fatigue

– **Mobilité/déplacement :**

P1 : Malaises possibles, j'ai une chaise roulante / myélite D8 en plus du cancer

P2 : J'ai réussi à obtenir les cartes invalidité et stationnement et elles m'aident énormément.

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

P1 : Arrêt longue maladie, je suis médecin : troubles cognitifs et mémoire

P2 : Aucune vie pro, il serait impossible pour moi de travailler.

P3 : nulle

– **Vie affective :**

P1 : Support surtout logistique

P2 : La vie affective est présente dans ma situation

– **Vie sexuelle :**

P2 : Vie sexuelle, aucune !

P3 : nulle

– **Vie sociale :**

P1 : Pauvre

P2 : La vie sociale peut-être compliquée si l'on doit sortir le soir par ex, du fait encore une fois de la fatigue

P3 : Conservée mais limitée

– **Autres aspects :**

P2 : je dirais le rapport avec les enfants peut être compliqué car parfois je ne peux pas être disponible pour eux. Pour le sport par exemple, surtout quand j'ai une chimio la veille d'un weekend.

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 :

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

- | | |
|----------------|---|
| - Argument 1 : | Ne fonctionnent pas pour toutes les Triplettes et aucun ne fonctionne sur le long terme |
| - Argument 2 : | Arsenal thérapeutique insuffisant |
| - Argument 3 : | Besoin de nouvelles solutions pour espérer vivre plus longtemps |

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 :

Nouvelle thérapie (anticorps conjugué) qui ouvrent de nouvelles perspectives en délivrant la chimiothérapie au cœur des cellules cancéreuses

- Amélioration majeure 2 :

Taux de réponse au traitement plus important que la chimiothérapie conventionnelle

P2 :

Ayant récidivé 3 fois en 1 an, cet essai clinique que l'on m'a proposé m'a permis en premier lieu de gagner en espérance de vie. Cela me permet de me projeter dans l'avenir.

P3 : amélioration au niveau de la plèvre et pas d'autres nodules en vue,

- Amélioration majeure 3:

Depuis mai 21 (début de l'essai), j'ai une réponse partielle consolidée, (j'ai des metas pulmonaires et des ganglions au médiastin)

- 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 :

P1 : Je n'ai rien à dire pour le moment ayant eu des pathologies concomitantes à chacune des 3 injections Covid,

HyperCa et Cystite sous hyperhydratation quotidienne

P2 : Les inconvénients sont bien évidemment les effets secondaires

Une grande fatigue, nausées, vomissements, perte de cheveux, douleurs gastriques, diarrhées, constipation, douleurs musculaires

Enfin, la totale quoi... ou presque.

P3 : les vomissements persistent et sont importants ainsi que les états de fatigue

- 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 :

P1 : **pas de progression des méta**

P3 : **régression de la maladie**

- 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 :

P3 : **que tout ce que j'ai entrepris n'a servi à rien et que la maladie continue à progresser**

- Crainte principale 2 :

Peur que ça ne fonctionne pas ou pas longtemps

- 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 : Calendrier des effets secondaires
- 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. ?)**

Trouvez des solutions pour que le recueil ne soit pas « modifié » par les « filtres » de la personne qui écoute le patient : nécessite une capacité d'écoute sans jugement ou interprétation.

- **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 ?**

Service avec médecin joignable H24

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)
-

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).

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.

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

Les informations sont le résultat de notre expérience de patientes et de notre implication pour faire avancer la cause des Triplettes (femmes atteintes d'un cancer du sein triple négatif métastatique).

Nous avons également sollicité 3 patientes recevant ou ayant reçu ENHERTU.

- 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 ?

Le recueil a été réalisé par le Collectif Triplettes Roses.

Le présent formulaire a été adressé par mail aux patientes pour répondre aux paragraphes 3 et 5.1.

Deux représentantes du Collectif ont consolidé les réponses **en gardant les verbatim formulés par les patientes** sollicitées

- 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 ?

Rédaction : Claude COUTIER (présidente) et Widad KHIDER (vice-présidente) du Collectif Triplettes Roses

Contributions : 3 patientes recevant ou ayant reçu ENHERTU

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

Non le Collectif n'a reçu aucune aide extérieure pour soutenir sa contribution

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 :

- 1) Difficultés du vécu de la maladie : douleurs plus ou moins invalidantes, une grande fatigue est également présente. Cette fatigue est très difficile à gérer et à prévoir intellectuellement, beaucoup de troubles de la mémoire du fait du flot d'informations.
- 2) **Les thérapies actuelles sont insuffisantes car elles ne permettent pas de vivre longtemps et encore moins de guérir.**
- 3) Le Trastuzumab Deruxtecan permet d'améliorer considérablement la survie des patientes atteintes d'un cancer métastatique dont la tumeur exprime même faiblement le HER2. C'est ce que démontre une étude présentée à l'ASCO qui va révolutionner la prise en charge du cancer du sein.

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.

Accès précoce aux médicaments - Questionnaire de recueil du point de vue des associations et groupes d'usagers du système de santé - 7 juillet 2021

Toutes nos publications sont téléchargeables sur www.has-sante.fr