

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 : Association Française des Malades du Myélome Multiple (AF3M)

Adresse du siège* : 30, Rue Pasquier - 75008 Paris

Nature de la structure* : Association agréée au niveau national

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

2800 adhérents

Audition souhaitée:

☒ Oui ☐ Non ;

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

Raison : Pouvoir exprimer des positions qui vont au-delà des aspects abordés dans le questionnaire

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

Nom commercial* : Pas de nom connu à ce stade I

Dénomination commune internationale (DCI)* : **ELRANATATAMAB (Elranatamab)**

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

Médicament en accès précoce pré-AMM indiqué en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute ou réfractaire ayant reçu au moins trois traitements antérieurs et dont la maladie a progressé pendant le dernier traitement.

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

Le myélome multiple est une pathologie positionnée dans les maladies rares, avec un nombre de malades significatif (plusieurs centaines) auxquels les traitements actuels n'apportent aucune solution thérapeutique durable, et pour lesquels la maladie continue à progresser inexorablement.

Pour ces malades l'accès aux thérapies innovantes de la famille des CAR-T cells ou des anticorps bispécifiques tel que le **Elranatamab** objet de la présente demande d'accès précoce, constitue leur seule chance de survie à court terme.

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 myélome eu égard à son niveau de prévalence moyen est classé dans les maladies rares
- Argument 2 : Les malades concernés par la présente demande d'autorisation précoce sont des malades très avancés dans la maladie pour lesquels l'accès à un nouveau traitement de type CAR T ou anticorps bispécifiques constitue leur seule chance de survie à court terme.

Les anticorps bispécifiques sont une nouvelle forme d'immunothérapie anticancéreuse qui se lie à deux cibles différentes à la fois et les engage. Un bras se lie directement à des antigènes spécifiques sur les cellules

cancéreuses et l'autre bras se lie aux lymphocytes T, réunissant les deux types de cellules.

Elranatamab est un antigène de maturation des cellules B (BCMA)-anticorps bispécifique (BsAb) ciblé CD3.

Elranatamab a été conçu pour se lier au BCMA, qui est fortement exprimé à la surface des cellules du myélome multiple (MM), et au récepteur CD3 présent à la surface des cellules T, les reliant entre elles et activant les cellules T pour tuer les cellules du myélome. L'affinité de liaison de Elranatamab pour le BCMA et le CD3 a été conçue pour déclencher une puissante activité anti-myélome médiée par les lymphocytes T.

- **Argument 3 :** La plupart des malades concernés par ce nouveau traitement, eu égard aux nombreux traitements qui leur ont déjà été proposés, souvent sans succès, sont confrontés à de multiples conséquences : fatigue, douleurs osseuses qui sont de nature invalidante.

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

Le myélome multiple est une maladie qui provoque des bouleversements importants en termes de qualité de vie aussi bien pour le malade que pour leurs proches.

Pour en savoir plus consulter le bulletin Af3m [Bulletin 42 Sept 2021 \(www.af3m.org\)](http://www.af3m.org). Cet article présente les conclusions de l'enquête réalisée en 2021 par l'AF3M avec comme objectif de mieux comprendre comment les malades et leurs proches vivaient avec leur myélome multiple.

Cette enquête comportait deux questionnaires : l'un a été proposé auprès de 442 malades du myélome multiple et, pour la première fois, le second auprès de 155 proches ou aidants.

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

Extrait du rapport de l'enquête réalisée en 2021 par l'AF3M avec comme objectif de mieux comprendre comment les malades et leurs proches vivaient avec leur myélome multiple

Bien que 62% des malades se déclarent combattifs et mener une vie active malgré la maladie, **la moitié d'entre eux ressent de la fatigue, voire de l'épuisement**. Parmi cette majorité, les effets secondaires des traitements restent très présents : 67% déclarent souffrir de neuropathies, 54% de troubles gastriques et plus de 50% de problèmes de mémoire. À souligner que selon les malades une majorité de ces symptômes ne serait toujours pas prise en charge. Au-delà des difficultés physiques, les malades expriment également des difficultés d'ordre psychologique et social. Une majorité d'entre eux se sent anxieuse avant chaque bilan sanguin et avant chaque visite chez l'hématologue.

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

Sans objet

– **Activités de la vie quotidienne :**

Extrait du rapport de l'enquête réalisée en 2021 par l'AF3M avec comme objectif de mieux comprendre comment les malades et leurs proches vivaient avec leur myélome multiple

Bien que ¾ des malades ayant répondu à l'enquête déclarent bénéficier d'une bonne qualité de vie, **plus de la moitié estime que la maladie les empêche de mettre en place des projets**. La promenade arrive en tête des activités qui améliorent le quotidien, activité commune entre le malade et son proche.

- **Mobilité/déplacement :**

Les douleurs osseuses ont un impact important sur la mobilité des malades, elles conduisent certains à bénéficier d'une reconnaissance pour handicap.

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

L'impact du myélome sur la vie professionnelle est l'objet du programme ReWork-QoL, l'un des 3 programmes de recherche du SIRIC ILIAD de Nantes Angers auquel l'AF3M contribue.

Ce programme s'appuie sur une vision intégrée en oncologie, il est articulé autour du parcours de soins et du parcours de vie des malades : depuis le diagnostic jusqu'à l'évaluation de la réponse au traitement, à l'étude de la rechute et à l'après traitement avec la reprise du travail.

Le programme ReWork-QoL traite de ces questions, il vise à développer des outils prédictifs de la qualité de vie durant le parcours de soins et après retour au travail.

Il est important de noter que les traitements du myélome entraînent de longs arrêts de travail avec très souvent une reconnaissance d'handicap auprès de la MDPH. D'autre part, de nombreux malades ont besoin d'aménagements de poste ou sont dans l'obligation d'être en invalidité, ce qui entraîne qu'un pourcentage important de malades du myélome en âge de travailler ne retrouve pas, à l'issue des traitements, leur situation professionnelle antérieure.

[Programmes de Recherche - SIRIC ILIAD Nantes Angers - Site de Recherche Intégrée sur le Cancer \(siric-iliad.com\)](http://siric-iliad.com)

- **Vie affective :**

Le MOOC « Myélonet » développé par l'AF3M en partenariat avec les hématologues de l'Intergroupe Francophone du Myélome (IFM), MOOC actualisé en 2022, consacre un cours pour traiter de l'impact du myélome sur « Les relations du malade avec ses proches, ses aidants et **son entourage** »

En suivant ce cours, lors des deux sessions tutorées organisées chaque année, les participants : malades ou proches ont la possibilité de partager leur expérience en étant accompagnés par des tuteurs : malades ou proches bénévoles de l'AF3M.

Ce cours traite notamment des questions relatives à la vie affective, sexuelle et sociale.

Enfin, à l'occasion des sessions tutorées, une webconférence animée par une onco psychologue est organisée afin de répondre aux questions soulevées par les participants.

Pour en savoir plus : <https://mooc.af3m.org>

- **Vie sexuelle :**

Dans l'enquête 2021, 41 % des malades ont déclaré que la maladie a des répercussions dans leur vie de couple. Ce pourcentage atteint 46 % quand on interroge les proches-aidants.

- **Vie sociale :**

50% des malades interrogés et 75 % des proche-aidants ont exprimé des difficultés d'ordre psychologique et social.

- **Autres aspects :**

L'angoisse de la rechute pour les malades en rémission est clairement exprimée aussi bien tant par les malades eux-mêmes que par leur entourage.

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 :

Tout d'abord, il est important de rappeler que pour le myélome multiple, malgré les nombreux nouveaux médicaments de la classe des inhibiteurs du protéasome, des Imid et des anticorps monoclonaux autorisés ces dernières années, **il n'existe pas à ce stade de traitement curatif.**

Comme évoqué en introduction, il y a en permanence un nombre de malades significatif (plusieurs centaines) pour lesquels les traitements actuels n'apportent aucune solution thérapeutique durable leur permettant d'accéder à des périodes de rémission prolongées. Ces malades, au fil des lignes de traitement, deviennent réfractaires aux traitements qui leur sont proposés, et sont confrontés à une maladie qui continue à progresser inexorablement.

En conséquence, pour ces malades l'accès aux thérapies innovantes de la famille des CAR T Cells ou des anticorps bispécifiques, objet de la présente demande d'accès précoce, constitue leur seule chance de survie à court terme.

Concernant l'elranatamab, l'essai Magnétis de phase 2 réalisé sans bras comparateur, sur lequel s'appuie la présente demande d'accès précoce, a inclus des patients, tous très avancés dans la maladie, tri ou penta réfractaires, dont environ 40 patients français suivis dans 6 centres.

A noter qu'outre ces patients inclus dans cet essai clinique, 140 patients ont bénéficié depuis début juin 2022 du elranatamab au travers d'une ATU compassionnelle.

Cet essai a montré que l'elranatamab présentait un profil d'innocuité gérable et, après un suivi médian de 6,8 mois, les patients ont obtenu un taux de réponse globale (ORR) de 61,0 %. Parmi les répondeurs, il y avait 90,4 % de probabilité de maintenir une réponse ≥ 6 mois, **résultats qui pour**

l'Af3m apparaissent exceptionnels, car jamais atteints notamment lors des essais conduits par le passé en vue d'évaluer les anticorps monoclonaux CD38 de première génération.

Ces résultats ont conduit récemment la FDA et l'EMA à adopter les décisions suivantes :

- **La Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis** a déclaré que l'immunothérapie anticancéreuse expérimentale elranatamab constituait une thérapie révolutionnaire ~~de~~ pour le traitement des personnes atteintes d'un myélome multiple récidivant ou réfractaire (RRMM).
- **L'Agence européenne des médicaments (EMA)** a accordé à l'elranatamab la désignation « Fast Track ».

Ces résultats et annonces confirment la position défendue par l'Af3m dans le cadre de dossiers récents d'accès précoce / d'évaluation de CAR T ou d'anticorps bispécifique, à savoir que pour les malades du myélome réfractaires aux traitements disponibles avec une maladie qui continue à progresser, dont le nombre peut être estimé en France à plusieurs centaines, ces nouveaux traitements viennent combler une absence de traitement approprié, qu'ils répondent de fait à une urgence sanitaire, comme évoqué dans l'actualité publiée par la HAS le 20 mai 2022, actualité intitulée « *Autorisation d'accès précoce aux médicaments : un premier bilan positif et des principes d'évaluation affinés* ».

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

- Argument 1 :

Avec un myélome non contrôlé et en progression, le pronostic vital d'un malade risque vite d'être engagé, l'accès à un nouveau traitement innovant constitue pour les malades concernés une ultime chance de survie.
- Argument 2 :

Le cumul de traitements, trois lignes et plus, est souvent source d'une qualité de vie dégradée, d'effets indésirables durables
- Argument 3 :

Les traitements actuels permettent aux malades de bénéficier d'une période de rémission plus ou moins longue, toutefois il subsiste un pourcentage significatif de patients qui deviennent tri ou penta réfractaires, sans alternative thérapeutique.

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 :

- 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 :
 - 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 :

La possibilité pour des malades sans solution thérapeutique, réfractaires aux traitements disponibles, de disposer d'un nouvel espoir de survie à court terme, voire pour certains d'entre eux d'envisager à terme une forme de guérison durable qualifiée de fonctionnelle.

- Attente majeure 2 :

La possibilité pour les malades du myélome tri ou penta réfractaires, notamment les plus jeunes, de disposer d'un traitement ne nécessitant pas de longs séjours à l'hôpital, qui soit administrable en HDJ voire en HAD.

Tel est le cas au vu de des résultats de l'essai de phase 2, elranatamab est administrable en sous cutané, avec un protocole d'accès récemment allégé, n'exigeant plus un séjour en hôpital après chaque injection.

D'autre part, elranatamab présente un profil d'innocuité gérable, l'effet indésirable le plus courant lié au traitement, étant un relargage de ci toxine de grade 1 ou 2, effet indésirable bien connu et maîtrisé par les hématologues.

- Attente majeure 3:

Que cette nouvelle approche thérapeutique puisse rapidement être proposée aux malades dès les premières lignes de traitement, notamment pour des malades avec un pronostic défavorable

- 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 :**

Le fait que ce nouveau traitement soit proposé en continu jusqu'à nouvelle progression de la maladie, et bien qu'il semble globalement bien toléré, avec des effets indésirables qui sont bien connus et maîtrisés par les hématologues.

- **Crainte principale 2 :**

Le fait qu'à ce stade, il ne soit disponible dans tous les centres qu'au travers de l'accès compassionnel, un dispositif beaucoup plus contraignant que celui de l'accès précoce.

- **Crainte principale 3 :**

La dépendance de la France, et plus généralement de l'Europe liée au fait que comme pour les CAR-T, les anticorps bi spécifiques sont développés hors de France, pour le elranatamab aux USA.

- **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 de 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 constantes simples
- **Type d'information 2 :** Les informations sur leur qualité de vie
- **Type d'information 3 :** Les effets indésirables ressentis

➔ **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. ?)**

Donner dès le début du traitement un rôle d'acteur au malade et à son proche aidant. Utilisation d'un système d'accompagnement à domicile et/ ou à l'hôpital se basant sur un accompagnement humain d'un personnel de santé avec le support d'un système numérique renseigné par le patient lui-même et le personnel de santé. En intégrant si possible son entourage dans ce recueil avec l'accord du malade.

Il s'agit d'un dispositif que l'Af3m compte développer et mettre en place au travers du Programme HéMaVie 2.0 qui va être déployé en 2023.

➔ **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 ?**

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.

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 ?**
-

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) ?**

Ce questionnaire a été complété en s'appuyant essentiellement sur les résultats de l'enquête Af3m 2021(445 malades et 150 aidants interrogés) conduite par un organisme spécialisé, enquête financée sur les fonds propres de l'Af3m, en s'appuyant sur les communications d'essais rendues publiques.

Par ailleurs, il y a lieu de noter, comme nous avons déjà eu l'occasion de le formuler à l'occasion du comité de suivi de la feuille de route « renforcer l'engagement des usagers dans l'évaluation des produits de santé » qui s'est tenu le 1^{er} avril, que la qualité et la complétude de nos contributions ne pourront être renforcées que si les associations de malades disposent d'un accès aux dossiers présentés par les industriels, objet des présentes demandes d'accès précoces ou des évaluations réalisées par la CT.

A minima, nous souhaitons avoir accès aux données clés, notamment celles concernant les survies avant nouvelle progression de la maladie, les effets indésirables observés durant les traitements, l'évaluation de la qualité de vie des malades ayant bénéficié de ces nouveaux traitements.

- **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 ?**

Pour réaliser le retour d'expérience des patients traités avec le elranatamab, nous nous sommes appuyés sur les nombreux échanges avec les malades au sein de l'association, sur les réseaux sociaux, sur les discussions au cours des webconférences organisées dans le cadre du projet Af3m « MOOC Myélonet », ainsi que lors de notre journée nationale d'information tenue simultanément dans 26 villes, chaque année courant octobre.

A noter, que le nouveau MOOC Myélonet qui sera lancé à compter du 1^{er} décembre 2022, a été conçu de manière à nous permettre de recueillir plus facilement les témoignages des malades accédant à ces

innovations au travers de leur participation à un essai clinique, ou d'un accès précoce, que d'autre part la version 2.0 du programme de soutien et d'accompagnement HéMaVie qui sera déployé en 2023 intégrera un outil permettant à ces mêmes malades de remonter, au travers d'un outil dédié, des données « PROMs ».

➔ **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 ?**

Bernard DELCOUR membre CA, Laurent GILLOT Président

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

Non

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 avancées thérapeutiques observées ces dernières années pour le myélome multiple sont considérables : pour autant il existe toujours un nombre significatif de malades pour lesquels les traitements actuels sont peu ou pas efficaces, avec pour ces derniers une espérance de vie très limitée.

Pour ces malades en échec thérapeutique, l'accès à un traitement de type anticorps bispécifique constitue une approche complémentaire au traitement par CAR T cells.

Au-delà de leur permettre d'accéder à une nouvelle survie inespérée, elle constitue une source d'espoir majeur, notamment pour les malades dont l'état de santé, lié à ses comorbidités ne leur permet pas de s'affranchir des délais de manufacturing des CAR T cells.

Enfin, il nous semble que, même s'il est selon nous prématuré d'affirmer que ces nouvelles approches thérapeutiques - bispécifiques et CAR T cells – permettraient d'accéder à terme à une guérison dite fonctionnelle, ces innovations se positionnent à l'évidence en rupture par rapport aux solutions thérapeutiques disponibles, et constituent, comme vient de le déclarer la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis, une thérapie révolutionnaire.

Ce constat, en complément du souhait de l'Af3m de pouvoir accéder, à l'avenir, à tout ou partie du dossier présenté par l'industriel, vient confirmer l'urgence qu'il y a de faire évoluer la doctrine mise en œuvre par la HAS pour évaluer de telles innovations.

En ce sens l'Af3m de félicite des réflexions engagées par la HAS en vue d'actualiser sa doctrine, pour faire qu'à l'avenir les situations d'urgence sanitaire et d'absence de traitement approprié puissent être

mieux prises en compte : à cet égard il nous apparaît nécessaire que dans le cadre d'un dossier d'évaluation, avant d'attribuer une absence d'ASMR, la situation des patients concernés, patients sans alternatives thérapeutiques, patients confrontés à un risque léthal de court terme, soit reconnue.

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts

→ 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 : DELCOUR Bernard
- Fonction : membre CA Af3m
- Adresse électronique : bernarddelcouraf3m@orange.fr
- Téléphone : 0607359195

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

Informier, soutenir les malades et leurs proches, journées nationales d'information, groupes de paroles, MOOC Myélonet, webconférences. Mettre en œuvre toutes les actions nécessaires permettant de faire entendre la parole des malades et des proches : contributions à la rédaction de documents, actions auprès des instances publiques

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

L'Af3m est une association agréée.

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.

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.

- ➔ Budget total de l'association pour l'année passée : 460 500 euros
- ➔ Budget total de l'association pour l'année en cours : 489 000 euros

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021	Subventions soutiens	274 500 euros	60 %
	Dons adhésions actions bénévoles	186 000 euros	40 %

- ➔ 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.