

Questionnaire de recueil du point de vue des patients et usagers pour l'évaluation d'un médicament

Commission de la transparence - Commission de l'évaluation économique et de santé publique

Evaluation de : RETSEVMO (selpercatinib)

Indication(s) du médicament concernées : Nouvelle indication en monothérapie dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé, présentant une fusion du gène RET, naïfs de traitement systémique antérieur.

Merci de lire le Guide pour les associations de patients et d'usagers avant de remplir le questionnaire. Une fois le questionnaire complété, nous vous conseillons de supprimer les encadrés d'aide (zones grisées) pour gagner de la place et améliorer la lisibilité.

Nom et adresse de l'association :

Association De l'Air !

1, rue Etienne Dolet

69600 Oullins

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour remplir le questionnaire et notamment la nature des informations mobilisées (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, ligne téléphonique, nombre de participants, ... avec les périodes concernées).

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?

Groupe de travail de l'association, par les membres du bureau

Monsieur Jean Pierre Lassaigue, président et secrétaire, patient traité pour un cancer pulmonaire, guéri, en surveillance secondaire.

Madame Sophie Gatellier, membre du bureau, patiente en cours de traitement pour un cancer pulmonaire

Monsieur Grégory Rouleaud, membre du bureau psychologue et aidant

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures et quelle est leur nature ?

Non

2. Impact de la maladie / état de santé

2.1 Comment la maladie (ou l'état de santé) pour laquelle le médicament est évalué affecte-t-elle la qualité de vie des patients (court terme, long terme) ? Quels aspects posent le plus de difficultés ?

Les cancers bronchiques sont la première cause de mortalité par cancer en France homme et femme confondus et plus de la moitié des cancers bronchiques sont diagnostiqués au stade IV. Les altérations RET sont exceptionnelles (2% des CBNPC), plus chez des patients jeunes (médiane d'âge de 60 ans) et non fumeurs.

La gravité est majeure, le cancer du poumon fait partie des cancers de mauvais pronostic car généralement de découverte à un stade avancé.

Par exemple :

- **Symptômes les plus importants à contrôler : par exemple difficultés respiratoires ou motrices, douleur, fatigue, incontinence, anxiété**

- *Impact fonctionnel : incapacité/difficulté à effectuer certaines activités,*

- **Impact social/relationnel : perte de capacité au travail/à l'école, perte de confiance, difficultés relationnelles, impact sur la santé mentale, impact financier, sur l'évolution professionnelle**

- **Nécessité d'une aide pour la vie quotidienne**

- **Equilibre familial**

- **Relation intime, troubles sexuels**

La fatigue physique fait souvent partie des symptômes de la maladie, **la fatigue intellectuelle** est souvent liée.

Les activités de la vie quotidienne sont très fréquemment diminuées par le stade évolué et/ou le traitement initial.

La vie professionnelle et capacité de travail.

Très fréquemment impactée par le stade évolué et/ou le traitement.

En général, il existe des différences importantes entre un patient en exercice professionnel libéral ou salarié. Il existe souvent des problèmes liés au regard de l'entreprise et à la place (ou absence de place) qu'elle accorde à un malade.

2.2 Comment la maladie (ou l'état de santé) affecte-t-elle l'entourage (famille, proches, aidants...) ?

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

Par exemple :

- **Effets émotionnels/ psychologiques, fatigue, stress, dépression, difficultés physiques**
- **Equilibre familial**
- **Relation intime, vie sexuelle**

Le cancer du poumon, avec son pronostic très sévère conduit à une atteinte souvent très importante du « soi » pour le patient et pour tout son entourage, s'il existe. Il s'en suit des troubles de l'équilibre familial et des bouleversements des rôles de chacun.

Les patients disent avoir besoin d'attention et de soutien, ce qui engendre des sollicitations importantes de l'entourage pour pallier aux difficultés quotidiennes.

Ils peuvent être poussés également dans un repli (éviter l'effondrement) dur à vivre pour l'entourage.

Ils se sentent moins présents dans la vie familiale avec un abandon des responsabilités qu'ils avaient antérieurement.

Pour certains, il existe des troubles de la sexualité en lien avec la maladie et des sentiments d'irritabilité, mal vécus par l'entourage.

Beaucoup d'entre eux pensent que le cancer est un facteur d'angoisse pour la famille et les proches.

La fatigue générale et le besoin de repos ont inévitablement un impact sur le rythme et les projets familiaux.

Pour certains, les proches doivent modifier leur rythme de travail pour être plus présent à domicile et répondre aux besoins de la personne malade.

Certains patients, seul(es), en charge d'une famille se retrouve dans des situations très complexes.

L'impact sur l'équilibre de la famille, sur la qualité de vie ainsi que la sensation d'être « enfermé » dans la maladie, se font donc ressentir aussi bien chez les patients que chez les aidants.

Les cures de chimiothérapie se font également en hospitalisation et constitue souvent une contrainte supplémentaire.

3. Expérience avec les thérapeutiques actuelles autres que celles évaluées

3.1 Selon vous, quelles sont actuellement les thérapeutiques les plus adaptées ? Leurs avantages et inconvénients ?

Par thérapeutique, il faut entendre toute forme d'intervention (utilisation d'un médicament, dispositif médical, rééducation, suivi psychologique, prises en charge hospitalières, médecine alternative ou complémentaire, ... etc). Si aucune thérapeutique n'est disponible, ceci doit être mentionné.

Si l'indication du médicament concerne une phase particulière de la maladie, les enjeux décrits devront en tenir compte.

Par exemple, lister les principales thérapeutiques utilisées et décrire leur impact en termes :

d'administration/de prise du traitement (fréquence/rythme, traitement à domicile/à l'hôpital, facilité d'accès, actions spécifique du patient ou de l'entourage), de consultations, d'examen complémentaires (bilan et surveillance biologique, radiologique), de prise en charge associée (kinésithérapie, psychiatrie)

d'efficacité sur le contrôle ou la réduction des aspects les plus difficiles de la maladie

d'effets indésirables en précisant ceux les plus difficiles à tolérer et ceux acceptables

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.
de répercussion sur la vie quotidienne : impact scolaire/ professionnel, impact physique, impact financier, impact sur l'entourage.

Préoccupations sur l'usage à long terme de la thérapeutique existante

Le traitement de première ligne par chimiothérapie seule ou chimio-immunothérapie est lourd et difficile à supporter. Les réponses cliniques positives sont très insuffisantes.

De plus, on ne dispose d'aucune étude sur immunothérapie et translocation RET, mais il est vraisemblable que l'immunothérapie est inefficace comme pour les translocations ALK et ROS.

3.2 Quelles sont les principales attentes des patients vis-à-vis d'une nouvelle thérapeutique ?

Qu'elle les guérissent ! Ou à minima qu'elle stoppe l'évolution de la maladie et cela sans effet secondaires.

4. Expériences avec le médicament évalué

4.1 D'après votre expérience du médicament et celle des autres malades, quelles sont les conséquences positives ou négatives de son utilisation?

Par exemple, en termes :

De facilité d'usage ou d'observance

D'efficacité, qualité de vie

D'effets indésirables

D'impact financier

D'impact sur l'entourage

D'impact sur la vie professionnelle et sociale

4.2 Si vous n'avez pas d'expérience de ce médicament, et que vous avez connaissance de la littérature, de résultats d'essais, ou de communications, quelles sont selon vous les attentes ou les limites ?

Selon le résumé du New England Journal of medicine pour les personnes non médicales

L'efficacité du Selpercatinib est impressionnante, avec très peu d'effet secondaire, et aucun progresseur chez les patients non prétraités.

L'efficacité est majeure, avec peu d'effets secondaires.

Chimiothérapie à base de platine antérieure: 64% de réponse complète ou partielle.

Auparavant non traité: 85% de réponse complète ou partielle.

La durée médiane de réponse était de 17 mois.

Ce traitement doit donc être autorisé en première ou deuxième ligne.

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

5. Information supplémentaire

Communiquer toute information supplémentaire pouvant aider les membres de la commission dans leur évaluation.

Il s'agit d'une option indispensable pour les patients porteurs de l'altération RET.

6. Synthèse de votre contribution

Listez les points les plus importants de votre contribution. Ils sont susceptibles d'être rappelés oralement lors de la séance de la commission.

Par exemple:

Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...

Les thérapeutiques actuelles sont (in) adéquates parce que ...

Le médicament répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que...

(...)

Efficacité impressionnante, très peu d'effet secondaire, aucun progresseur chez les patients naïfs de traitement antérieur.

Effacité majeure avec peu d'effets secondaires.

Ce traitement doit donc être autorisé en première ou deuxième ligne.

Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou de nous appeler au 01 55 93 71 18.