
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	14
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	15
1.3. Le médicament évalué	17
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	17
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	18
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	18
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	18
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	19
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	19
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	19
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	20
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	20
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	22
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	23
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	23
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	25
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	26
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	28
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	29

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

La HAS dispose de toutes les données médico-scientifiques, mais ne peut pas par elle-même donner les arguments de réflexion du point de vue des patients ou usagers concernés.

C'est pourquoi vous êtes invité(e)s à contribuer aux évaluations.

La Commission d'évaluation économique et de santé publique rend un avis économique sur certains de ces médicaments. La présente contribution lui sera transmise systématiquement.

L'équipe du « service engagement des usagers » se tient toujours à votre disposition pour toute question ou échange. Contact : contact.contribution@has-sante.fr / 01 55 93 71 18.



Toutes les associations ou groupes représentant les usagers du système de santé peuvent utiliser ce questionnaire.

Vous pouvez consulter les informations publiées destinées aux associations et de patients et d'usagers sur la page internet dédiée du site internet de la HAS.

Lors des premières fois, il peut être utile de recevoir des explications : il y a toujours un interlocuteur dédié pour vous répondre, vous orienter ou échanger avec vous par mail (contact.contribution@has-sante.fr) ou par téléphone (01 55 93 71 18). C'est le service Engagement des usagers qui vous répondra : il s'agit d'une équipe qui est à votre écoute.

Pour des informations détaillées sur les principes d'évaluation des médicaments par la Commission de la transparence, vous pouvez consulter les doctrines d'évaluation [en vue du remboursement](#) et [en vue d'une autorisation d'accès précoce](#). Cette lecture spécialisée n'est pas nécessaire pour remplir ce questionnaire.

NB : pour simplifier la lecture, le masculin est utilisé dans les phrases de ce questionnaire – ceci est simplement une convention de rédaction dans le présent document. [La HAS promeut l'inclusion et l'égalité sur tous les plans, y compris de genre et de sexe.](#)

Note importante

Les questions de ce formulaire ne sont pas contraignantes. Elles ont pour but de vous orienter si vous les trouvez pertinentes.

Si vous le souhaitez, vous pouvez n'utiliser que les cadres « Autres » qui peuvent être agrandis autant que nécessaire.

Seules les questions de la partie administrative tout au début de ce questionnaire sont obligatoires

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.



Il est obligatoire de remplir la rubrique suivante pour que votre questionnaire soit pris en compte. CE VOLET DU QUESTIONNAIRE NE SERA PAS PUBLIE

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association Patients en Réseau - PeR

Site internet :

Association : <https://www.patientsenreseau.fr/>

Réseaux privés de l'association :

<https://www.monreseau-cancerdusein.com>

<https://www.monreseau-cancergyneco.com/>

<https://www.monreseau-cancerdupoumon.com>

<https://www.monreseau-cancercolorectal.com/>

Adresse postale (le cas échéant) :

15 Rue Gît le Cœur, 75006 PARIS

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☒ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau :

Décrivez la composition du conseil d'administration et du bureau (titres et noms des personnes) des associations agréées :

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

Notre association est récente (2014) et nous entamons une réflexion pour établir un dossier de candidature à l'agrément début 2023. La composition du conseil d'administration (CA) à ce jour est la suivante :

- Président : Sophie Barbe-Wolffsheim
- Trésorière : Yannick Piau
- Secrétaire : Matthieu Grosfils
- Secrétaire Générale Adjointe : Véronique Bernad
- Membre du CA : Olivier Lefevre - Membre du CA : Josiane Breuille

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

L'association « Patients en Réseau » représente :

- 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

Nombre de bénévoles :

30 bénévoles

Nombre de salariés :

2 salariés

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

L'Association **Patients en réseau** a pour but de soutenir les patients et leurs proches pendant tout leur parcours de soins. Elle regroupe des personnes concernées par le cancer et a été créée à partir de leurs expériences vécues.

Elle s'appuie sur des comités scientifiques pluridisciplinaires et a pour vocation de développer des réseaux sociaux pour **faciliter le quotidien face à l'épreuve de la maladie**. Ainsi les personnes peuvent échanger, trouver de l'information fiable et des ressources pratiques (adresses utiles, événements).

Nos réseaux permettent l'anonymat, sont gratuits, modérés, accessibles par site internet et application mobile, à tous les francophones, quel que soit le lieu de vie, de soins ou l'étape dans la maladie.

Elle participe également à des actions de **démocratie en santé** et de promotion de la recherche clinique.

Personne contact pour les contributions (les données de cette rubrique ne seront pas publiées) :

- Prénom NOM :

Laure GUEROULT ACCOLAS

- Fonction :

Directrice et Fondatrice de l'association Patients en Réseau

- Adresse électronique :

lga@patientsenreseau.fr

- Téléphone :

06.28.28.22.40



Données personnelles collectées

Les données personnelles recueillies ci-dessus font l'objet d'un traitement de données par la HAS. Elles sont à destination des collaborateurs de la HAS. Elles servent uniquement à la gestion des contributions des associations aux travaux de la HAS.

Sauf opposition de votre part, vos coordonnées seront conservées pour pouvoir éventuellement vous solliciter pour d'autres travaux de la HAS. 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 mail à l'adresse suivante dpo@has-sante.fr



Vous devez remplir cette rubrique même si vous avez coché 'non' à la question ci-dessus. Votre décision sera respectée.

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

TRODELVY ®

Dénomination commune internationale (DCI) :

Sacituzumab Govitecan

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce :

TRODELVY ® Sacituzumab Govitecan est un traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein à récepteurs hormonaux (RH) positifs / récepteurs du facteur de croissance épidermique humain 2 (HER2) négatifs (IHC 0, IHC 1+, ou IHC 2+/ISH-) non résécable ou métastatique, ayant reçu au préalable une hormonothérapie et au moins deux traitements systémiques additionnels au stade métastatique.)

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☐ En vue du remboursement de droit commun

☒ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des 'groupes', par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc. :

- Fatigue intellectuelle ou physique*
- Activités de la vie quotidienne*
- Mobilité/déplacement*
- Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- Vie professionnelle – Capacité de travail*
- Vie affective*
- Vie sexuelle*
- Vie sociale*
- Impacts psychologiques*
- Douleur*
- Aspects financiers*
- Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

Le cancer du sein est le cancer le plus fréquent chez la femme : il représente plus du tiers des nouveaux cas de cancer, soit environ 58 500 par an. Chez l'homme, le cancer du sein représente environ 1% des cancers du sein.

Les cancers du sein pris à un stade très précoce sont guéris à 5 ans dans environ 99% des cas. La survie moyenne nette à 5 ans est de 88 % (chiffres 2018- INCA).

Le cancer du sein est responsable de plus de 12 100 décès par an. Au stade métastatique, le taux de survie à 5 ans est de 20%.

Pour cette contribution, nous avons pu solliciter des patient.es vivant ces situations et ayant reçu le médicament étudié et qui ont répondu à notre questionnaire.

Nous avons eu 5 répondantes, dont 2 que nous n'avons pu retenir car elles n'étaient pas atteintes d'un cancer du sein RH+ HER2-.

Sur les 3 répondantes correspondant aux critères de l'indication pour cette contribution, une a eu un cancer métastatique d'emblée et les deux autres ont été en rechute (une entre 1 et 2 ans, l'autre entre 5 et 10 ans). Elles sont âgées entre 35 et 65 ans.

Deux habitent dans des villes moyennes et une dans une grande ville, en Ile France et en Corse. Elles sont suivies pour la prise en charge de leur cancer dans une clinique pour 2 d'entre elles, la 3^{ème} est suivie dans un CLCC.

Deux patient.es ont reçu le TRODELVY® entre 6 et 12 mois et cette ligne de traitement n'est plus leur ligne actuelle de traitement. Une patiente l'a reçu moins de 6 mois.

Les patient.es atteints de métastases ont une qualité de vie qui se dégrade tant au niveau psychique que physique.

Tout traitement permettant une meilleure qualité de vie et stabilisant les métastases sur une moyenne à longue durée est alors essentiel.

Impacts psychologiques de l'annonce de la récurrence

L'annonce d'un cancer est un moment dont chaque patient.e se souvient comme d'un moment d'incompréhension et de sidération. Et cela d'autant plus quand le cancer diagnostiqué est métastatique puisque les médecins ne peuvent pas nous promettre de nous guérir.

Pour celles et ceux qui ont suivi leur protocole de soins et qui ont entendu le mot rémission, chaque rendez-vous de contrôle ou chaque douleur fait ressurgir le spectre « le cancer peut revenir ». Ainsi, l'annonce d'une rechute ou d'une récurrence, alors que l'hormonothérapie est censée parer cette éventualité, met le.la patient.e dans un désarroi abyssal.

« C'était très violent, en plein été les médecins pas toujours présents pour m'accompagner. L'extension aux poumons et aux os nécessitait des explorations difficiles à mettre en place pendant les grandes vacances. Beaucoup d'attente et d'inquiétude puis prise en main rassurante par un nouvel oncologue qui me suit très bien depuis »

« cela a été compliqué car j'ai dû m'arrêter de travailler à 49 ans et démarrer une chimio durant 3 ans suivie d'une intervention au foie(site des métastases) en 2012.Ensuite, répit durant 6 ans et rechutes répétées depuis 2018 toujours au foie.... »

Impacts sur votre moral, votre état psychique

« il faut toujours avoir des amis, et se confier un peu aux proches pour être réconforté et se sentir aimé. »

« J'ai réussi à garder un bon moral grâce à un suivi psy régulier et à mon entourage (4 enfants, groupe d'amies, famille) »

« Je ne suis pas déprimée mais impossibilité à se projeter. »

Fatigue intellectuelle ou physique

« Jusqu'à aujourd'hui, je suis diminuée après les cures de chimio durant 3 j environ »

Impacts physiques – Douleurs

« J'ai des douleurs diffuses au dos, je me fatigue vite lorsque je marche en dénivelé (facile), mon apparence a changé dans le sens où sur 10 années, je vieillis plus vite »

« fatigue, douleurs osseuses bassin, hanches, cervicales »

Activités de la vie quotidienne - Mobilité/déplacement

« je supporte plutôt bien le port de perruque, mon sommeil est resté bon jusqu'à peu, et j'ai gardé une autonomie totale jusqu'au mois dernier. »

« J'ai arrêté d'aller à la salle de gymnastique car je porte une perruque et c'est compliqué de faire du sport, toutefois, je jardine, je fais mes courses et je me déplace toute seule sauf pour mes cures où je prends un taxi. »

« de décembre 2021 à septembre 2022 difficultés à monter des marches prendre appui sur une jambe ou l'autre. »

Vie sociale et Vie professionnelle – Capacité de travail

« J'ai pu continuer à travailler, je supporte plutôt bien le port de perruque, mon sommeil est resté bon jusqu'à peu, et j'ai gardé une autonomie totale jusqu'au mois dernier. »

« Durant l'essai j'étais autonome, je travaillais, je n'avais pas de douleurs, j'avais trouvé un bon rythme. j'en suis sortie depuis un an et ma maladie évolue, mes conditions de vie sont progressivement plus dures. Je vais sûrement devoir arrêter de travailler prochainement. J'ai de moins en moins d'énergie pour les activités quotidiennes, pour sortir voir des amis le soir. Depuis peu de temps la fatigue peut me dissuader de conduire »

« cela a été compliqué car j'ai dû m'arrêter de travailler à 49 ans »

« Je suis en invalidité catégorie 2 depuis novembre 2020. Suis fatiguée. ne peux pas rester longtemps assise, ne peux plus travailler derrière un ordinateur à cause des douleurs aux cervicales et au bassin. Impossible de retravailler oui. Du mal à me concentrer »

« J'ai aujourd'hui 62 ans, je suis officiellement à la retraite depuis avril 2022 après avoir été en invalidité. je me tiens informée de la culture, nous avons des amis que je reçois également, avec mon époux, nous continuons coûte que coûte. »

Vie affective et sexuelle

« Concernant la libido, elle est en berne depuis 10 ans et il faut que le compagnon soit très compréhensif! »

« Il faut tenir compte des chimios après lesquelles je suis fatiguée, il reste peu de jours où la forme est suffisante et l'envie présente. Peu de spontanéité. »

« Pas de vie sexuelle depuis 5 ans bien que je sois mariée et que mon mari et moi nous nous aimons. Pas de position confortable et je ne peux me mouvoir. Même les câlins me font mal au cou. Mon mari est tendre, ma fille de 15 ans affectueuse et mon chat très câlin. Mon mari et moi sommes plus à fleur de peau avec les montagnes russes émotionnelles au gré des examens des aggravations de la douleur. »

Impacts financiers

« J'aimerais qu'une équipe pluridisciplinaire en oncologie puisse s'installer dans le nouvel hôpital d'Ajaccio car pour l'instant j'ai toujours été suivie à l'institut Curie et en Corse c'est un désert médical en ce qui concerne l'oncologie. »

« Coût financier pour bénéficier des soins de support proche de chez soi. »

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

Les questionnaires de qualité de vie EORTC QLQ-C30 est le questionnaire PROMs de qualité de vie utilisés dans les essais cliniques de phase 3. Le EQ-5D-5L rapide, mais une évaluation très générale. Le FACT-G commence à être souvent cité dans diverses études. Néanmoins, ces questionnaires ne nous semblent pas complètement adaptés au recueil de données de vie réelle pour le patient.

1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des « groupes », par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc.

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Impacts psychologiques*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les proches ou les aidants ?

Il ressort beaucoup d'anxiété et d'inquiétude des proches et aidants. La maladie métastatique est une angoisse partagée. Malade et proche peuvent être en décalage et une incompréhension. Les proches peuvent être plus fatalistes que le patient et/ou très protecteurs.

¹ Parfois appelés PROMs. Les '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.

De plus, la maladie peut avoir un impact délétère sur les relations de couple, familiale mais aussi financièrement. Cette charge financière se rajoute à la charge mentale du proche aidant qui voit son fardeau s'alourdir et qui n'accède généralement à aucune aide ni soutien spécifique.

« c'est bien évidemment compliqué! j'essaie autant que faire se peut de ne pas trop m'épancher. »

« Inquiétude forte chez mes enfants, mon mari. Une certaine habitude aussi depuis 9 ans. L'impératif des chimio qui reviennent souvent et. Gouvernent un peu le rythme de la famille. La peur de rapporter des microbes à la maison. Beaucoup de stress durant covid. Certains enfants doivent être suivis par un psy, les autres en auraient besoin mais refusent. »

« Mon mari est très angoissé depuis 5 ans et a très peur de ma disparition et de toutes les choses administratives, mes amis proches restent attentionnés. Les autres ont un peu pris des distances mais je reste bien entourée. Ma mère de presque 95 ans a Alzheimer et la Dmla.

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)



Les informations demandées ici sont importantes pour la Commission de la transparence car elle évalue les nouveaux produits comparativement aux options thérapeutiques déjà disponibles. Les avis en vue du remboursement comportent notamment une gradation du progrès thérapeutique apporté par un nouveau médicament au regard des traitements actuellement disponibles ou de la prise en charge habituelle. C'est ce que l'on appelle « l'Amélioration du Service Médical Rendu » (ASMR). L'ASMR comporte cinq niveaux allant de « absente » (ASMR V) à « majeure » (ASMR I).



Merci de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le produit évalué (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...).

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Dans le cadre de la prise en charge d'un cancer du sein métastatique RH+ et HER2-, devenant résistants à l'hormonothérapie et en progression après des traitements par hormonothérapie associée

ou non à un inhibiteur CDK4/6 ou du fulvestrant associé à l'hormonothérapie, la principale option thérapeutique se limite à de la mono-chimiothérapie : éribuline, capécitabine, vinorelbine, gemcitabine ou taxane.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les mono-chimiothérapies utilisées, moins toxiques, le sont depuis un certain temps, et il y a un recul suffisant sur leur administration et leurs effets indésirables. Certaines chimiothérapies sont sous forme orale comme la capécitabine.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les inconvénients pour les patient.es des mono-chimiothérapies sont les délais souvent courts avant une rechute et les effets secondaires cumulatifs des lignes de traitement, tels que :

- L'asthénie, l'anémie
- La neutropénie
- Une alopecie
- Des neuropathies périphériques
- Des nausées, vomissements
- Des douleurs musculaires et articulaires

Les répondantes nous ont précisé les traitements reçus avant le TRODELVY® - sacituzumab govitecan et leurs avantages et inconvénients les concernant :

« EREBULINE - chimio très toxique, beaucoup de nausées, perte d'appétit, neuropathie, forme intraveineuse ».

« Xeloda (3ans, bon dosage trouvé, facilité de prise par comprimé, vie quotidienne normale)

Puis 3 cycles Halaven sans effet et Caelyx 3 cycles sans efficacité (chimio, pas trop d'impact sur la vie quotidienne) et entrée dans le protocole Tropics

« Navelbine intraveineuse 2 mois et orale 2 mois puis Taxotère en intraveineuse toutes les 2 semaines pendant 4 mois Taxotère très efficace pendant 4 mois puis inefficace très brutalement.

Très peu d'effets secondaires pour ces 2 chimios. Beaucoup moins de fatigue.

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne couvrent pas tous vos besoins ?

Un délai d'efficacité court, les effets néfastes du cumul de lignes de traitements sur l'état général (physique et psychique) des patient.es

1.3. Le médicament évalué



Les catégories ci-dessous sont proposées à titre indicatif, elles peuvent être utilisées dans certaines questions. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients principaux qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
 - *la qualité de vie (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 : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.*
-

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

Le libellé de l'indication demandée (ce qui désigne les patients concernés) par le laboratoire vous semble-t-il adéquat ? Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ? Merci de justifier votre réponse.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement remplir la rubrique « Si vous avez une expérience... » ci-dessous (§ 1.3.2).

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, ne remplir que la rubrique « Si vous n'avez pas d'expérience... » (§ 1.3.3).

Vous pouvez laisser vide l'une ou l'autre de ces rubriques.

1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)

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

Quelles sont les principales améliorations constatées par rapport aux traitements actuels ?



Exemples d'amélioration (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

1- Une meilleure efficacité

Deux répondantes précisent une meilleure efficacité de ce traitement par rapport à leur traitement antérieur.

« Thérapie ciblée donc traite mieux »

« Cela a guéri totalement mes métastases sous cutanées sur le cuir chevelu.

-Baisse de mon marqueur CA15-3 qui est toujours significatif.

- Disparition de douleurs osseuses »

2- Des effets secondaires diminuant avec le temps

« Moins d'effets secondaires, Peu ou pas de nausées au bout d'un moment »

« Les effets secondaires sont prévisibles » « je vois mon oncologue avant chaque intraveineuse de trodelvy »

3- Une assez bonne Qualité de vie

Deux répondantes qualifient leur qualité de vie d'assez bonne avec peu ou pas d'effets indésirables. Leur poids est resté stable.

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

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

- L'inconvénient principal est la forme d'administration par intraveineuse 3 semaines sur 4.

« Chimio 3 semaines sur 4 c'est lourd »

L'inconvénient secondaire est lié aux effets secondaires au début du traitement. « Peu ou pas de nausées au bout d'un moment »

Une des répondantes a reçu le traitement après une lourde opération et elle a subi des effets secondaires impactant au début du traitement : « Nausées épouvantables, Colite violente, Vomissements »

1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



Exemples d'attentes (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Quelles sont les principales améliorations attendues par rapport aux traitements actuels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

Quelles sont les principales craintes concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

1- Une maladie grave

Le cancer de stade IV, métastatique est une maladie à ce jour non guérissable.

2- Une maladie invalidante

Etre atteint d'un cancer métastatique a des impacts importants pour le malade tant au niveau psychologique, physique, social, professionnel et financier. C'est une maladie invalidante sur tous ces plans.

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

Les traitements actuellement proposés sont une chimiothérapie en mono-thérapie dont l'efficacité peut être de très courte durée (2 à 3 mois) voire aucune.

Quelles sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?



Cette question porte sur le caractère innovant de l'usage du produit pour lequel la demande d'autorisation d'accès précoce est demandée.

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment² sur deux points :

- l'apport d'un changement substantiel en matière d'efficacité y compris sur la qualité de vie, de tolérance, de praticité ou de commodité d'emploi ou de parcours de soins ;*
- la couverture d'un besoin médical non ou insuffisamment couvert (ex. : usage adapté pour les enfants).*

1- Une efficacité meilleure et sur une durée plus longue

Les répondantes à notre questionnaire font ressortir une meilleure efficacité notamment sur les métastases au cerveau et une durée plus longue d'action (environ 9 mois) avant changement de traitement.

« ce que je souhaiterais dire c'est qu'il est important pour nous patients (répondant aux critères de la maladie) de s'entendre dire qu'il y a une molécule très efficace contre les métastases ; d'autant plus lorsque l'on lutte et que les douleurs sont omniprésentes. »

² Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)

« Ce traitement a été très efficace pour moi mais très éprouvant physiquement au quotidien à cause des effets secondaires, mais il est important que le plus de femmes puissent y avoir accès. Depuis 5 ans je suis obligée de traitements souvent. Celui-ci m'a permis de tenir 9 mois supplémentaires et m'a donné une chance de plus ».

3- Assez Bonne Qualité de vie

Deux répondantes exposent une assez bonne qualité de vie avec peu d'incidence sur leur quotidien, leur mobilité et leur vie sociale. Leur moral est positif. Leur poids est resté stable et peut être corrélé à des effets indésirables maîtrisés.

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



Il est essentiel pendant l'accès précoce d'observer avec attention l'utilisation et les effets du médicament pour mieux le connaître et évaluer son efficacité et ses effets indésirables en « vie réelle ».

Les données relatives à l'utilisation et aux effets du médicament sont collectées auprès des patients de deux façons :

- *par le médecin durant les consultations : le médecin prescripteur de ce médicament posera des questions aux patients sur l'état dans lequel ils se sentent avec le traitement ;*
- *par les patients eux-mêmes entre les consultations : les patients (et/ou leurs proches dans certains cas) recevront un ou plusieurs questionnaires en ligne ou sous format papier afin de recueillir eux-mêmes des données de santé et plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.*

La façon dont cette surveillance et cette collecte de données sont organisées est décrite en détail dans un document spécifique nommé « Protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données », ou : PUT-RD.

Nous vous invitons à nous donner votre avis sur les données ou informations qu'il serait pertinent de recueillir du point de vue des patients et/ou des aidants.



Dans cette rubrique, nous vous demandons d'exprimer les types de données ainsi que la façon de les recueillir qui sont les plus pertinentes de votre point de vue. Il n'est pas utile de mentionner les données purement médicales telles que les paramètres biologiques.

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

Quels sont les 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 évalué ?

La connaissance des caractéristiques des métastases nous semble prioritaires. En effet, une répondante précise qu'elle a bénéficié de la biopsie des métastases et qu'elle a révélé une mutation des métastases en triple négatif.

En outre pour conserver la meilleure qualité de vie possible, il nous semble essentiel pour les patient.es plus fragiles suite aux précédentes lignes de traitement ou après des chirurgies de débiter le traitement avec une dose moindre qui permettra de subir moins d'effets indésirables. Un accompagnement de l'instauration de ce traitement serait très apprécié pour accompagner ces patientes en maladie avancée et réagir au plus vite si des effets indésirables apparaissent et adapter les soins de support proposés.

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, recueil avec l'aide d'un patient expert, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

L'échange d'information avec le médecin, la présentation des options thérapeutiques, le recueil des préférences des patientes, va permettre de prendre une décision médicale partagée, comprise et à laquelle la patiente adhèrera.

Accompagner l'instauration du traitement par des questionnaires et une évaluation clinique adaptée serait très utile. En fonction des situations des patientes, des questionnaires par téléphone, par application mobile ou avec la présence de soignants de proximité (infirmière libérale formée, pharmacien) seraient très précieux.

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données



La soumission d'un « protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données » (PUT-RD) est une obligation légale pour le laboratoire pharmaceutique qui soumet une demande d'accès précoce. Ces données d'utilisation vont renforcer les connaissances sur le médicament en pratique clinique habituelle.

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.

³ Également appelées « variables d'intérêt »



Le PUT-RD n'est pas publié sur notre site. La HAS peut décider de le transmettre tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

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

☒ Oui

☐ Non

Avez-vous des commentaires ou des compléments relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

Il nous semble nécessaire de préciser que dès constat d'une résistance à l'hormonothérapie et/ou antiCDK4/6 et avant tout début du traitement, une biopsie des métastases doit être réalisé afin d'adapter au mieux le traitement aux évolutions de la maladie.

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'utilisateurs lors de l'examen de la demande.

Vous pouvez ici manifester votre intérêt pour une telle audition (en plus de cette contribution écrite).

ATTENTION : Les auditions devant la commission de la transparence sont ordinairement accordées dans le cadre des autorisations d'accès précoce ; elles sont exceptionnelles dans le cadre du remboursement.

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



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

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

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

Le diagnostic de récurrence métastatique est pour la patiente et ses proches un véritable bouleversement. Cela fait peser un sentiment de culpabilité sur les malades quant aux angoisses que cela engendre chez leurs proches. Tout cela impacte profondément les projets de vie, la capacité à se projeter, à avancer dans sa vie professionnelle et personnelle.

Pour une personne touchée par un cancer du sein métastatique hormonodépendant sans expression de l'HER2, les traitements prescrits sont des traitements relativement bien supportés, mais avec une fatigue et des perturbations des bilans sanguins importants. Les 1ères et seconde lignes standard sont une association de traitements (hormonothérapie et anti cdk4/6, fulvestrant ou évérolimus en association), soient par comprimés, soit combinant injection et comprimés. Les lignes de traitement suivantes sont une succession de chimiothérapie parfois avec une stabilisation suivie d'une nouvelle hormonothérapie ou d'un autre ligne de chimiothérapie.

La stabilisation de la maladie métastatique est un enjeu majeur pour une meilleure qualité de vie des patient.es.

Les traitements par hormonothérapie et inhibiteurs de CDK4/6 permettent de préserver une qualité de vie intéressante pour les patient.es. Les traitements par chimiothérapie dégradent cette qualité de vie.

En situation avancée, de nombreuses chimiothérapies peuvent être utilisées, mais dont l'intérêt reste à peser.

Le raisonnement menant au choix du traitement proposé doit inclure l'état général, les comorbidités, la voie d'administration, les effets secondaires attendus et la sensibilité passée du cancer aux différentes chimiothérapies et classe de chimiothérapies entreprises.

Il est aussi primordial de pouvoir donner un espoir pour les patientes atteintes de métastases cérébrales notamment dont le pronostic est péjoratif.

Les résultats de l'étude TROPICS-02 ayant permis aux patientes de notre questionnaire d'avoir accès Trodelvy® (sacituzumab govitecan) sont très encourageants en terme de survie sans progression.

Pour une meilleure tolérance, il nous semble que ce traitement pourrait intervenir plus tôt après résistance à l'hormonothérapie et anti CDK4/6 et non pas après deux lignes de chimiothérapie qui succèdent à un précédent traitement par hormonothérapie, et inhibiteur de cdk4/6.

Trodelvy® (sacituzumab govitecan) participe à offrir une nouvelle option thérapeutique efficace pour des malades à la maladie RH+ HER2- avancée échappant aux thérapeutiques actuelles.

5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques



Si vous souhaitez compléter les informations que vous jugez utiles pour la Commission de la transparence, merci d'utiliser cette partie de façon libre.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire



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

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

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

Selon quelles méthodes avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement ?

Nous avons proposé un questionnaire qui a été complété par 3 patientes concernées sur la période du 03/01/2022 au 18/01/2023. 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 privé « Mon Réseau cancer du sein », et sur les réseaux ouverts Facebook, Instagram.

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

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 ?

NON

Pouvez-vous nous donner une estimation du temps qui a été nécessaire pour rédiger cette contribution ?

Environ 21 h

Avez-vous rencontré des difficultés pour remplir ce questionnaire, et si oui, lesquelles ?

Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

Conception du questionnaire

Ce questionnaire a été construit en collaboration avec des représentants associatifs via un groupe de travail dédié. Pour plus d'information, [cliquez ici](#).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

