
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	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	12
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	13
1.3. Le médicament évalué	14
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	15
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	15
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	15
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	16
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	16
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	16
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	16
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	18
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	18
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	19
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	20
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	21
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	22
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	23
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	24
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	25

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

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

LYNPARZA

Dénomination commune internationale (DCI) :

OLAPARIB

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

En association avec l'abiratérone et à la prednisone ou à la prednisolone pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer de la prostate résistant à la castration métastatique (CPRCm) pour lesquels la chimiothérapie n'est pas cliniquement indiqué

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 de la prostate (CP) se situe au 1er rang des cancers chez l'homme et représenterait la 3^{ème} cause de décès chez l'homme en France. Le CP tue encore aujourd'hui pratiquement 1 homme toutes les heures (dernière information communiquée par l'INCa, base 2018 : 8 100 décès par an)

Précisons d'entrée que, contrairement aux idées parfois « reçues », le CP ne touche pas que les personnes dites âgées mais aussi des hommes dans la quarantaine ou la cinquantaine.

Comme dans d'autres cancers, les circonstances et le moment du diagnostic a un impact décisif sur le patient, alors que les moyens du diagnostic et les recommandations le concernant ne sont pas clairement établies ; situation susceptible de renforcer le nombre de cas de diagnostics tardifs.

Il s'agit souvent d'un cancer asymptomatique, autre facteur de risque d'un diagnostic à un stade avancé. Nous pouvons témoigner de nombreux cas hommes de moins de 60 ans chez qui le CP est découvert à la suite d'une fracture (hanche par exemple) ou de douleurs récurrentes, signifiant que le cancer a déjà atteint les os. Le pronostic vital est dès lors souvent défavorable.

Impact sur le patient :

Dans le cas d'un diagnostic au stade localisé, au mieux le patient sera placé en surveillance active avec un suivi régulier principalement basé sur l'évolution de son taux de psa (en général tous les 3 ou 4 mois).

L'impact est alors principalement psychologique et lié à l'annonce d'un cancer. Chez beaucoup, cette annonce, même en cas de cancer « débutant » et localisé, signifie néanmoins vivre avec la maladie et redouter en permanence son évolution.

Plus le diagnostic est tardif et plus le risque pour le patient de subir des effets altérant sa qualité de vie est probable et fort.

Ces effets peuvent être liés

- A la maladie elle-même :
 - Effets psychologiques liés à l'annonce de la maladie ;
 - Effet physiques : fatigue
 - Douleurs liées aux métastases osseuses le plus souvent
Dans le cancer métastatique,
 - Altération de la vie sociale.
- A la prise en charge :
 - Effets de la prostatectomie radicale : incontinences urinaires généralement temporaires mais 5% des patients restent incontinents après 2 ans + troubles sexuels liés aux troubles de l'érection, affectant sévèrement la vie intime.
 - Effets des traitements : ici encore, plus le stade est avancé et plus le patients est susceptible de subir des impacts liés à ses traitements, qu'il s'agisse des hormonothérapies (troubles sexuels, fatigue, inconfort général) ; de chimiothérapie (nausées, vomissements, vie sociale et professionnelles systématiquement affectées.
 - La radiothérapie présente également des contraintes souvent lourdes, que ce soit au plan physique (diarrhées, saignement fréquents...), ou professionnels (souvent incompatible avec l'obligation de se rendre chaque jour à l'hôpital), etc.

La résistance à la castration et la présence de métastases sont deux facteurs aggravants de l'état global des patients.

CERHOM avait réalisé en 2021 une enquête auprès d'environ 80 patients atteints de CP.

Des questions individuelles spécifiques avaient été posés à 7 patients métastatiques.

Sur ces patients :

7 sur 7 se plaignaient de douleurs, dont 6 de douleurs osseuses ou musculaires. 3 d'entre eux disaient souffrir tous les jours.

En termes d'autoévaluation, les patients métastatiques évaluaient :

- Leur état physique à 5,1 /10 (contre 7,3 en moyenne chez l'ensemble des 80 patients
- Leur qualité de vie à 6,1/10 (contre 7,4 en moyenne)

Sur ces 7 patients métastatiques interrogés, 3 étaient également résistants à la castration. Âgés entre 60 et 70 ans, tous trois sous Docetaxel et hormonothérapie de nouvelle génération.

Pour ces 3 patients, l'autoévaluation de leur état physique tombait à 3,6 /10 et la qualité de vie à 4 sur 10.

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 ?

EORTC

ALQ-C30

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*

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.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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.

Aujourd'hui, nous identifions en traitements accessibles, pour aider à retarder l'évolution de la maladie :

- Les inhibiteurs de la signalisation androgénique : blocage de la production ou l'activité des hormones masculines. Ces inhibiteurs de l'androgène comprennent l'abiratérone et l'enzalutamide.
- La chimiothérapie, pour les patients atteints de mCRPC qui ont déjà été traités avec des inhibiteurs de l'androgène. Les médicaments de chimiothérapie couramment utilisés pour le traitement du mCRPC comprennent le docétaxel et le cabazitaxel.
- Une éventuelle radiothérapie dite symptomatique, pour essayer de soulager les symptômes

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Observons qu'en une dizaine d'année, l'arsenal thérapeutique disponible dans le CPRCm s'est enrichi. Précédemment, un homme à qui on annonçait la résistance à la castration n'avait globalement d'autre choix que d'« attendre » l'apparition de métastases puis entamer une chimiothérapie.

L'échec de la chimiothérapie menait rapidement aux soins palliatifs, sans véritable solution pour retarder encore l'évolution de la maladie.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Nous voyons les traitements actuellement disponibles comme des moyens, au mieux, de retarder l'évolution du cancer. Le pronostic vital des patients de cette population est largement entamé. Nous sommes bien entendu dans l'attente de traitements véritablement curatives.

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

Pour nombre de patients atteints d'un cancer, de la prostate notamment, la vie devient une sorte de course contre la montre. « *Ma maladie ne doit pas évoluer plus vite que la recherche* » nous disait en novembre 2022 un patient métastatique de 61 ans. Il est malheureusement décédé en février 2023.

Course contre la montre pour qu'à chaque étape de l'évolution de la maladie, des solutions issues d'essais cliniques convaincants soit mise à la disposition des malades et des médecins.

Tous les besoins ne sont en effet pas couverts dans ce cancer.

Au contraire d'autres pathologies, les personnalisées ou ciblées ne sont pas encore véritablement déployées dans le CPRCm. Lorsque nous interrogeons les patients ou leurs proches, quasiment tous ignorent la notion de PARP, de BRCA ou de défauts des voies de réparation de l'ADN. L'information est encore peu accessible et diffusée. De même, peu de patients se voient proposer une procédure de recherche de mutation des gènes.

Il est indispensable d'accélérer l'accès à ces diagnostics et aux nouvelles thérapies qui représentent un espoir fondamental en termes de gain de survie.

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 secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

La perception par chaque malade de sa maladie n'est pas uniforme.

La question n'est pas tant d'évaluer une amélioration en termes de comparaison, mais en tant de que solution à part entière.

En effet, nous attendons une alternative aux traitement actuellement disponibles mais qui ne sont pas forcément recommandés pour le patient. C'est le cas dans l'indication étudiée ici, où la chimiothérapie n'est pas l'option prioritaire ou possible pour le malade.

Les alternatives, à ce stade de la maladie, sont peu nombreuses.

Dès lors, nous voyons Lynparza comme une véritable une alternative et comme une solution réellement efficace -au vu des essais cliniques, notamment PROpel- venant compléter l'hormonothérapie de NG notamment.

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 ?

Les commentaires relevés notamment dans le cadre de l'ASCO ou plus récemment de l'ESMO 2022 sont globalement très favorables au Lynparza.

Nous examinons également, bien sûr, la question des éventuels effets indésirables du traitement et souhaitons nous exprimer sur ce sujet.

La population cible est importante en l'espèce.

Nous avons affaire à des malades qui sont au stade le plus élevé en termes de gravité de leur cancer. Ils ont dépassé les stades auxquels on peut encore se sentir « confiant », c'est-à-dire avec une tumeur localisée et/ou sans résistance à la castration. Une fois le CP devenu métastatique et résistant, comme le dit un patient, *« on a un peu de marge et plus vraiment le temps de voir arriver les futurs traitements efficaces »*.

Aux stades peu avancés, la dégradation de la qualité de vie est relativement faible du fait de la maladie elle-même.

Avec un CPRCm, la situation est bien différente. On n'a plus le temps d'attendre. En termes de qualité de vie, celle-ci est déjà plus ou moins dégradée du fait des traitements déjà administrés. Voir les effets liés aux hormonothérapies notamment.

Certes, l'ajout d'un traitement supplémentaire pour essayer de retarder l'évolution dramatique des métastases, n'est pas neutre. Si le patient reçoit une chimiothérapie, nous savons les nombreux inconforts qu'il subira (fatigue, nausées et vomissements, perte de cheveux, etc.), avec un impact fort sur sa vie sociale, familiale et, souvent définitivement, professionnelle.

Nous avons pris connaissance des effets relevés pour l'Olaparib. Afin de compléter les éléments relevés dans la littérature, nous avons eu deux entretiens, le 14 mars 2023, avec deux médecins oncologues en vue de rédiger la présente contribution.

Ces médecins évoquent comme effets fréquents « anémie, donc fatigue, et troubles digestifs ». La mise en perspective de ces effets avec ceux d'une chimio sont-ils de nature à faire hésiter le patient ?

D'expérience, nous appuyant en cela sur des années d'échanges directs avec des malades dans le cadre du centre d'écoute de l'associations, il nous semble que les craintes évoquées en termes d'effets indésirables sont sans rapport avec le bénéfice démontré par l'étude PROpel en termes de survie globale.

Dans une logique de décision partagée, nous souhaitons que le médecin évoque cette solution thérapeutique avec son patient et c'est à celui-ci de décider s'il préfère renoncer pour éviter les effets ou suivre le traitement en donnant la priorité à la survie qui peut lui être offerte.

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 ?

Le CPRCm place le patient et son médecin dans une situation d'urgence.

Toute solution ayant démontré une capacité à ralentir l'évolution métastatique et donc un allongement de la survie doit être accessible et proposée au patient.

N'oublions pas que le principal impact des métastases est la douleur, qui par elle-même exclue le patient de la vie sociale et met à mal son capital psychologique.

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

Le fait que certains patients ne puissent se voir proposer une chimiothérapie nous engage collectivement à être en mesure de proposer des alternatives. Nous savons que le traitement par hormonothérapie a une efficacité, mais relative dans le temps. La priorité est de bloquer l'évolution de la maladie par tous moyens ayant démontré une efficacité, même partielle.

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).*

Les gains en termes de ralentissement de progression radiologique et/ou en termes de survie globale, démontrés par les études cliniques représentent un véritable espoir pour les patients. C'était le cas avec l'association abiratéronne + Olaparib pour les patients présentant une mutation BRCA, puisqu'on réduit le risque de progression tumorale ou de décès de beaucoup plus que 50%.

Un malade arrivé à ce stade de son cancer n'a pas le temps d'attendre plusieurs années la publication des futurs essais pour avoir la possibilité d'accéder à une solution, même imparfaite.

Pour lui, un écart comme celui montré dans l'étude PROpel en faveur de l'association abiratéronne-Olaparib est un immense espoir (SSPr de 24,8 mois contre 16,6 mois en bras abiraterone-placebo).

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 ».

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

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 ?

Des indicateurs relatifs à

- L'évolution par imagerie des métastases
- Scores de douleur
- Son ressenti général de son état physique et psychologique

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. ?)

A chaque rendez-vous avec le médecin qui suit le cancer, un outil de recueil des indicateurs de qualité de vie et d'évolution de la maladie devrait être utilisé, dans la continuité.

Idéalement, l'outil devrait être le même pour tous les centres, proposé par la HAS ou l'INCa.

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.



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 ?

Nous n'avons pas eu accès au PUT-RD dans le cadre du cancer de la prostate.

Nous avons consulté (open source sur le net) celui relatif à l'indication dans le cancer du sein.

S'agissant du suivi, la transcription/adaptation des documents proposés, au cancer de la prostate nous semble correcte. Un suivi de la QV sur la base du questionnaire EORTC QLC-C30 sur un rythme mensuel puis trimestriel nous semble adapté.

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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.

Nous voyons Lynparza comme une véritable alternative et comme une solution réellement efficace au vu des essais cliniques, notamment PROpel

Nous ne pouvons, en tant que patient, nous satisfaire de propositions de prise en charge actuellement disponibles qui, si elles contribuent à ralentir un peu l'évolution du cancer métastatique, sont encore loin d'offrir de réelles perspectives en termes de durée de survie globale et durée sans évolution des métastases.

Toute thérapeutique montrant une nouvelle amélioration ou possibilité d'amélioration (sur la base des résultats d'études cliniques) doit pouvoir être le plus rapidement possible proposée au patient et donc au médecin.

Rappelons l'importance que nous attachons à une décision argumentée, partagée et éclairée du choix du traitement entre le malade et son médecin. Les patients ne sauraient supporter qu'un médecin connaisse une possibilité de traitement mais n'en parle pas à son patient, faute de prise en charge.

L'existence et l'accès à des alternatives est un élément psychologique fort pour le patient, son entourage et le médecin. Un médecin qui ne dispose pas ou ne peut prescrire un traitement qui a démontré une efficacité lors de l'étude clinique, fut-elle une alternative, est en situation d'échec partagé.

Encore une fois, nous ne sommes pas ici dans le domaine du « confort » mais de la survie.

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 ?

Accumulation d'expériences issues du centre d'écoute téléphonique de Cerhom, en place depuis 2014

Extrait d'une enquête quantitative (questionnaire en ligne) et qualitative (entretiens individuels) de qualité de vie

2 entretiens téléphoniques avec des oncologues

Littérature (essais cliniques, articles)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?

Deux bénévoles de l'association en contact direct avec des patients, notamment métastatiques, depuis 2014 et 2016 respectivement.

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 ?

1,5 jours entre lectures et rédaction

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

Manque de temps

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

