
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	13
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	14
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	16
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	16
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	16
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	17
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	17
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	17
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	18
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	19
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	19
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	20
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	21
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	21
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	23
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	24
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	25
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	26

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 :

NERLYNX®

Dénomination commune internationale (DCI) :

neratinib

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

Traitement adjuvant prolongé des patients adultes présentant un cancer du sein précoce à récepteurs hormonaux positifs caractérisé par une surexpression/amplification de HER2 et ayant terminé le traitement adjuvant à base de trastuzumab depuis moins d'un an

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 localisé HER2+, initialement de plus mauvais pronostic, a vu les prises en charges résolument changer depuis l'arrivée du trastuzumab. Néanmoins, certaines patientes, souvent plus jeunes, avec des tumeurs plus grosses, des caractéristiques plus agressives, ont un risque qui demeure important de récurrence.

Pour les patientes c'est un facteur d'anxiété majeur, une épée de Damoclès lourde à porter qui peut pénaliser le rétablissement de la personne et son retour à une vie personnelle, sociale et professionnelle.

Aussi, réduire le risque de récurrence chez les patientes les plus à risque est un enjeu important. Eviter que la maladie ne devienne métastatique la meilleure voie vers une possible guérison.

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

Les répondantes à notre questionnaire mettent en avant des parcours de soins lourds (chimio en néoadjuvant ou en adjuvant, chirurgie, radiothérapie, thérapie ciblé trastuzumab) avec une fatigue intellectuelle et physique importantes, de l'angoisse, l'impact des effets indésirables liés à l'ensemble de ces traitements. Un suivi psychologique a parfois été possible, des impacts psychologiques sont retrouvés chez toutes. Les répondantes décrivent des conséquences sur leurs activités quotidiennes ou leur capacité de concentration, de retour au travail, leur vie sociale, affective et sexuelle.

– **Fatigue intellectuelle ou physique**

- « Le plus difficile est la fatigue » « Fatigue importante »
- « La fatigue est un peu plus prononcée » « Plus de fatigue »
- « Le plus difficile est la fatigue pendant la chimiothérapie »

– **Impacts psychologiques**

- « Stressée.. dépression.. manque de confiance en moi..envie d'être seule.. »
- « Je me bats pour voir grandir ma fille »
- « beaucoup d'angoisse au début surtout »
- « Suivi psy car diagnostic dans les suites d'une agression sexuelle donc lourd côté psy à gérer au niveau stress, neratinib est le seul espoir pour moi de pouvoir garder espoir qu'aucune rechute n'arrivera »

– **Impacts physiques – Douleurs**

- « Je souffre de neuropathie depuis l'intervention »
- « Fatigue, nausées, alopecie, aphtes, diarrhées, douleurs articulaires... »
- « Cheveux blancs, teint gris, fatigue »

– **Activités de la vie quotidienne - Mobilité/déplacement**

- « Je prends plus de temps pour faire les activités du quotidien, je souffre parfois de petits trous de mémoire mais rien de grave ça reste anecdotique »
- « perte d'appétit »

– **Vie sociale et Vie professionnelle – Capacité de travail**

- « Je n'ai toujours pas repris le travail suite au neuropathie »
- « Plus de travail et de vie sociale »
- « Reprise du travail au bout de un an »

– **Vie affective et sexuelle**

- « Perte de libido »
- « Plus de vie de couple »
- « A 2 ans et demi du diag : impact libido »
- « aucun impact véritable »

– **Impacts psychologiques**

- « Stressée.. dépression.. manque de confiance en moi..envie d'être seule.. »

« Je me bats pour voir grandir ma fille »
« tout est en quelque sorte rentré dans l'ordre maintenant »

– **Impacts physiques – Douleurs**

« Je souffre de neuropathie depuis l'intervention »
« Fatigue, nausées, alopecie, aphtes, diarrhées, douleurs articulaires... »
« Cheveux blancs, teint gris, fatigue »

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*

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.

- 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 localisée à haut risque de récurrence est une angoisse partagée. Malade et proche sont en décalage avec l'image sociale d'un cancer du sein localisé « qui se soigne bien ». Il y a donc une incompréhension sociale et un manque de soutien de tous sur cette période de « traitement adjuvant » qui est invisible pour la plupart et encore peu accompagnée par les soignants. De plus, la maladie a 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.

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.

Actuellement, le trastuzumab est le traitement ciblant Her2 donné en adjuvant et couplé avec l'hormonothérapie.. Il est administré toutes les 3 semaines, en perfusion intraveineuse d'environ 90 minutes. Des formes sous cutanées sont maintenant disponibles.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le traitement ciblant HER2, trastuzumab, est administré en hôpital de jour et parfois en HAD si la patiente accède à la forme sous-cutanée. (cette option est encore beaucoup trop peu proposée alors que le système de soins et la patiente y gagneraient : décharge de l'HDJ et réduction des coûts d'une part, moins d'impact sur le quotidien de la patiente : moins de temps, pas de déplacement, intégration facilitée dans la vie sociale et professionnelle...)

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Le trastuzumab a une toxicité cardiaque et des effets indésirables tels que : des réactions allergiques, de la diarrhée, des nausées, des douleurs abdominales, thoraciques, articulaires, musculaires, des maux de tête, des frissons, de la fièvre et de la fatigue.

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

Il peut subsister des cellules cancéreuses après chirurgie, chimiothérapie adjuvante ou néo-adjuvante, traitement ciblant HER2. Le risque de rechute est alors plus élevé. Et, l'anti-corps monoclonal Trastuzumab peut s'avérer insuffisant même associé avec l'hormonothérapie. Les patientes à haut risque de récurrence dans cette situation sont souvent plus jeunes, l'impact de la maladie et d'une possible rechute sont particulièrement angoissantes pour ces femmes en « pleine vie » de couple, de mère, professionnelle, sociale...

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-Diminution du risque de récurrence

Les répondantes majoritairement des femmes âgées de moins de 45 ans ont toutes mis en avant leur crainte de la récurrence face au risque plus élevé les concernant. Ainsi, elles ont eu une information claire sur leur risque de récurrence et sur ce traitement innovant, qu'est le neratinib. Elles connaissent le bénéfice en terme de diminution significative de risque et sont prêtes à en supporter les effets secondaires.

« Il permet d'éviter une récurrence de mon cancer her2+++ je crois que c'est le seul argument qui devrait être valable ce traitement ne devrait même pas être remis en question qu'importe les effets secondaires on se battra toutes pour survivre »

« Le risque de récurrence » « Ce que m'a dit mon Onco et les études lues »

« neratinib est le seul espoir pour moi de pouvoir garder espoir qu'aucune rechute n'arrivera »

2- Confort d'administration

Le neratinib se présente sous forme orale : la dose recommandée est de 240mg soit 6 comprimés de 40 mg. Il est pris une fois par jour, au cours d'un repas, de préférence le matin et pendant une durée d'un an.

Son administration est donc plus simple et peut se faire à domicile.

3- Assez bonne Qualité de vie

Les répondantes, qui ont le neratinib depuis environ 6 mois, expriment une assez bonne qualité de vie. Une seule fait part d'une mauvaise qualité de vie.

Il est à noter qu'une répondante a pu reprendre son activité professionnelle.

Aujourd'hui un plan de doses et la proposition d'antidiarrhéique permettent d'accompagner l'instauration du traitement et de permettre à la patiente de s'habituer au traitement.

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 ?

Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte.

Effet indésirable récurrent

Toutes les répondantes ont signalé des cas de diarrhée dès le début du traitement.

Cependant, pour y remédier, des traitements symptomatiques ont été mis en place ainsi qu'un arrêt temporaire du Neratinib. « Mise en place de traitements symptomatiques, arrêt temporaire du traitement, sans hospitalisation »

Une patiente fait état d'un arrêt définitif du Nerlynx à cause de diarrhées et de maux de ventre persistants .

Il paraît donc essentiel que ce médicament soit instauré avec des explications claires et une prise en charge préventive des diarrhées, un suivi adapté.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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).*

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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.

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



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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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. ?)

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 d'un haut risque de récurrence est pour la patiente et ses proches un véritable bouleversement.

Une nouvelle population de patient.es est ainsi en train d'être ciblée : les patient.es à risque élevé de récurrence, qui vont avoir un risque de résistance à l'hormonothérapie et/ou aux anticorps-HER2.

Cette épée de Damoclès bien réelle peut avoir un impact psychologique très lourd : peur et angoisse d'une récurrence, et de culpabilité.

Tout cela impacte profondément les projets de vie, la capacité à se projeter, à avancer dans sa vie professionnelle et personnelle notamment dans la construction d'une famille.

Pour une personne touchée par un cancer du sein localisé hormonodépendant et surexprimant HER2, un anti-HER2 sur un an et une hormonothérapie sont prescrits en traitement adjuvant afin de réduire ce risque de récurrence. C'est le traitement standard quel que soit le risque de rechute.

La possibilité de proposer une thérapeutique ciblée par voie orale pour réduire de manière significative le risque de récurrence est donc extrêmement utile pour proposer et enrichir le suivi de ces patient.es à risque élevé.

Cependant, il est tout aussi crucial que la qualité de vie soit au cœur de la prise en charge globale de ces patient.es.

Ainsi, le neratinib est pour le moment le seul traitement anti Her2 répondant aux besoins des patientes à risque élevé de récurrence. Son format d'administration, par voie orale, est une avancée significative. La prise en charge dès le départ du risque accru de diarrhée est essentielle pour une meilleure qualité de vie personnelle et pour envisager une reprise professionnelle.

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 **6 patientes** concernées sur la période du **27/11/2022 au 05/12/2022**. 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.

Profil des répondantes :

- 4 ont entre 35 et 44 ans, 1 entre 45 et 54 ans et 1 autre plus de 65 ans
- 4 habitent à la campagne ou dans des villes moyennes, 2 habitent dans des villes de plus d'1 millions d'habitants
- 4 sont suivies en CHU, 1 en CLCC, 1 en clinique privée
- 3 ont accès au Nératinib dans le cadre d'un accès précoce
- 3 ont accès au Nératinib dans le cadre d'un essai clinique
- Les caractéristiques principales des tumeurs :
 - 6 RH+ et HER2+++
 - 4 de grade 3
 - 3 de stade 2-3
 - 1 inflammatoire
 - 3 dont le KI 67 était > à 20%
 - 4 dont la taille était > 5 cm
 - 3 avec plus de 4 ganglions atteints
 - 3 avec 1 à 3 ganglions atteints

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 18 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

