
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	27
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	28

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 :

VERZENIOS®

Dénomination commune internationale (DCI) :

Abémaciclib

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

VERZENIOS en association avec une hormonothérapie est indiqué chez les patients adultes en traitement adjuvant du cancer du sein précoce avec récepteurs hormonaux (RH) positifs, récepteurs du facteur de croissance épidermique humain 2 (human epidermal growth factor receptor 2 [HER2]) négatifs, avec atteinte ganglionnaire et haut risque de rechute (voir rubrique 5.1 du Résumé des Caractéristiques du Produit).

Chez les femmes en pré/périménopause, le traitement par un inhibiteur de l'aromatase comme hormonothérapie doit être associé à un agoniste de l'hormone de libération de la lutéinostimu-line (luteinizing hormone-releasing hormone, LHRH).

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 ?

Impact de l'annonce

« Sidération, angoisse au départ puis soulagement lors de la mise en route du traitement (...). »

Aux questions, “vous at-on expliqué comment est évalué le risque de récurrence du cancer du sein qui vous concerné ?”, et “aux vues de ses éléments quel risque de récurrence présentez-vous ?”

Une des répondantes déclare avoir eu des explications claires et avoir un risque très élevé de récurrence. En conséquence, son degré d'inquiétude quant à une récurrence est moyennement élevé : 6 sur une échelle de 10.

Tandis que l'autre n'a pas reçu d'informations sur son risque de récurrence et aurait souhaité en recevoir, et en conséquence ne connaît pas son risque de récurrence. En conséquence, son degré d'inquiétude quant à une récurrence est minime : 2 sur une échelle de 10.

Chacune des répondantes a reçu l'explication et les informations sur le traitement adjuvant (l'hormonothérapie et l'abémaciclib - Verzenios®) lors d'une consultation de fin de radiothérapie. Elles sont sous ce traitement depuis moins de 6 mois.

Impact sur la vie quotidienne

L'état de fatigue (émotionnelle, physique, psychique) est l'impact le plus marquant décrit par les patient.es, suite à l'annonce d'un cancer et aux traitements successifs.

“De grosses variations de fatigues”

Cependant, comparativement aux traitements de chimiothérapie, l'abémaciclib est bien supporté en terme de fatigue physique.

“Je supporte bien le verzenios® à 100mg”

Mobilité / Vie professionnelle/ Vie sociale

Les personnes qui ont répondu à notre étude font état d'un mieux être lors de la pratique d'une activité sportive adaptée, et d'interrogations quant à une reprise de leur activité professionnelle.

« Je fais beaucoup de sport »

« J'ai peur de la fatigue à la reprise du travail. Le niveau de concentration me paraît correct. »

« Difficile de se projeter dans mon travail.”

Concernant la vie sociale, il existe souvent un décalage entre le ou la patient.e en rémission et son entourage. Il peut y avoir de l'incompréhension et surtout une peur qui se tourne plus vite pour l'entourage que pour la personne elle-même, qui doit vivre apprendre à nouveau à croire en elle, à croire en l'avenir malgré ce risque de récurrence notablement plus important que la moyenne.

Vie affective / sexuelle

Les situations sont bien entendues uniques en fonction des couples, globalement c'est un sujet à aborder car, si la vie personnelle s'effondre, c'est une douleur de plus à laquelle il faut faire face en plus de la maladie et des traitements... n'oublions pas les personnes célibataires, veufs/veuves ou divorcées qui font face à des difficultés importantes alors qu'elles sont seules au quotidien.

« Disparition d'une vie sexuelle, douleurs lors des rapports malgré un traitement par mucogyne. Ma vie affective est stable »

« Reprise très lente de la sexualité. La lubrification est revenue avec les gels internes et probiotiques. Très très peur de l'atrophie vaginale. »

Autres aspects :

- Physiques

“Actuellement, les cheveux repoussent, pas de gros changement physique hormis l'absence de sein bien caché avec la prothèse externe”

“La ménopause précoce.”

- Psychologiques

“Peur de l'avenir, peur de la récurrence, pas de dépression, bon moral”

« Émotivité »

“Moral fluctuant”

“Baisse de moral, fatigue, émotivité”

- Crainte de la récurrence :

Afin de réduire le risque de récurrence, les répondantes sont prêtes à :

- Dans 100% des cas à :
 - Prendre un traitement innovant diminuant de façon significative le risque de récurrence
 - Changer ses habitudes alimentaires
 - Faire plus d'activité physique
 - Réduire son stress
 - Prendre soin de son sommeil
- Dans 50% des cas à :
 - Faire face à des effets indésirables
 - Changer ses habitudes alimentaires

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*

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.

- 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 ?

L'annonce d'un cancer localement avancé avec un risque élevé de récurrence est très déstabilisante pour les proches. Le conjoint, les enfants vivent au quotidien l'impact des effets indésirables, les douleurs physiques et morales. Souvent, ils ont eux-mêmes de fortes angoisses. Le mot rémission qui est prononcé vient en contradiction avec la continuité d'un traitement adjuvant d'une certaine durée. Ainsi, le ou la patient.e se trouve souvent isolé.e dans ses ruminations de récurrence et ne l'évoque pas à ses proches tout à la joie de cette annonce de rémission alors même que le ou la patient.e ne retient que le chemin de son parcours de soin est encore long et contraignant.

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.

La stratégie thérapeutique repose essentiellement sur l'hormonothérapie. Chez les femmes ménopausées, les anti-aromatases sont, selon les recommandations le traitement adjuvant d'endocrinothérapie. Chez les femmes en pré/périménopause, avec un risque plus élevé de rechute, le traitement par un inhibiteur de l'aromatase comme hormonothérapie doit être associé à un agoniste de l'hormone de libération de la lutéinostimuline (*Luteinizing hormone-releasing hormone*, LHRH).

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les molécules sont anciennes et connues. Des études démontrent une bonne efficacité pour réduire le risque de récurrence.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Cependant, les effets indésirables induisent parfois une mauvaise observance ou un arrêt du traitement par hormonothérapie. Par ailleurs, des hormonorésistances sont à l'origine de rechute à moins de deux ans et de rechute tardive.

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

Des rechutes ou récurrences à court terme ainsi qu'à long terme sont possibles sous hormonothérapie notamment pour les femmes dont le cancer localisé était localement plus avancé (taille de la tumeur, agressivité de la maladie, envahissement ganglionnaire,...)

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.

Les nouvelles thérapies ciblées anti-kinases orales associées aux hormonothérapies ont été une formidable avancée dans le cancer du sein hormonodépendant métastatique ces dernières années et dans les derniers essais cliniques dans le cancer du sein précoce à risque élevé de rechute.

Cette nouvelle classe apporte régulièrement des nouvelles données d'efficacité.

Les traitements anticancéreux qui permettent d'augmenter les chances de survie sans rechute et de survie globale avec une bonne qualité de vie (maîtrise des effets secondaires) sont importants car ils permettent de vivre le plus normalement possible.

Au vu de l'amélioration significative du risque de récurrence invasive à 3 ans, la consultation de suivi et d'annonce du traitement en adjuvant par abemaciclib en association avec une hormonothérapie nous paraît un enjeu-clé pour la prise de décision du patient.

Le mode d'administration par voie orale est un plus ainsi que le fait de pouvoir diminuer la dose en fonction des effets indésirables observés.

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 ?

Les patientes ont toutes ressenti des effets indésirables attribués à l'abemaciclib selon la répartition suivante :

- Fatigue
- Perturbations sanguines (neutropénie, leucopénie, anémie)
- Diarrhées
- Nausées
- Douleurs articulaires
- Alopécie

“Neutropénie, fatigue, anémie”

“Problèmes digestifs. Estomac fragile avec de la nourriture compliquée. Fatigue”

Ces effets indésirables sont apparus immédiatement et les ont moyennement gênés dans leur quotidien.

La réduction de la dose ou l'arrêt temporaire permettent la résolution des effets indésirables chez la moitié des répondantes respectivement.

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 secondaires, 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 ?

L'accès précoce a été refusé pour ce médicament et cette indication il y a quelques mois alors que le principe d'une approche adjuvante renforcée se développer ex : olaparib pour les patientes mutées BRCA . Le besoin de réduire le risque de récurrence des patientes les plus à risque (souvent aussi plus jeunes) est une réalité. Un accès en droit commun à ce médicament permettrait son accès équitable aux patientes concernées.

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 cancer du sein est le cancer féminin le plus fréquent en France, avec 58 459 nouveaux cas et 12 146 décès en 2018 (INCA, 2018). Le sous-type luminal, caractérisé par le statut dit « récepteurs hormonaux positifs (RH+) » est le plus fréquent, représentant environ 70 % de tous les cancers du sein.

Afin de diminuer le risque de récurrence, les patientes atteintes d'un cancer du sein présentant des tumeurs RH+ reçoivent une hormonothérapie (HT) comme traitement adjuvant sur une durée de 5 à 10 ans. Toutefois, 30 % (1) des patient.es atteintes d'un cancer du sein à un stade précoce présenteront à dix ans du diagnostic une récurrence malgré un traitement local à visée curative.

(1) Référence : T. Ruhstaller, A. Giobbie-Hurder, M. Colleoni, M.-B. Jensen, B. Ejlersen, E. de Azambuja, *et al.* **Adjuvant Letrozole and Tamoxifen Alone or Sequentially for Postmenopausal Women With Hormone Receptor–Positive Breast Cancer: Long-Term Follow-Up of the BIG 1-98 Trial**

J Clin Oncol, 37 (2) (2019), pp. 105-114)

L'ESMO définit deux types d'hormonorésistance :

- Une résistance endocrinienne primaire est une rechute pendant les deux premières années d'un traitement adjuvant par hormonothérapie
- Une résistance endocrinienne secondaire est une rechute soit pendant l'hormonothérapie mais au-delà de deux ans de prise de traitement, soit dans les douze mois après l'arrêt de l'hormonothérapie adjuvante

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

L'espoir de ces personnes à retrouver une vie plus normale réside dans la rémission clinique qui suit la première phase du protocole de soins (chimiothérapie néoadjuvante ou adjuvante, chirurgie, radiothérapie).

L'introduction de l'hormonothérapie est parfois vécue difficilement à cause des effets secondaires qui peuvent être contraignants. Alors, le rajout d'une thérapie ciblée anti CDK4/6 pourra engendrer plus d'effets indésirables, notamment à l'instauration du traitement, mais participer à réduire au moins en partie, l'anxiété et l'anxiété des personnes à qui on a annoncé un risque plus élevé de récurrence (ou qui en ont la conscience) : souvent des femmes jeunes avec une tumeur à la taille plus importante, plus agressive et des ganglions touchés.

Aussi, la mise en place du traitement adjuvant renforcé devra être bien expliqué et accompagné, le retour à une vie « plus normale » et notamment le retour au travail pouvant être décalé de quelques semaines à mois. L'accompagnement adapté en soins de support paraît essentiel pour ces personnes.

En outre, l'entrée dans cette seconde phase du protocole de soins intervient à un moment très délicat pour les patientes qui se sentent fragilisées et vulnérables (elles ont reçu chirurgie, chimiothérapies, et radiothérapie juste avant), ce moment qui correspond à un "après-cancer" dont l'intitulé est en totale déconnexion avec ce que vivent au plus profond d'eux ou d'elles les patients.es qui se retrouvent avec une épée de Damoclès beaucoup plus lourde à porter.

C'est un enjeu en tant que tel que de donner la parole à ces patient.es pour qu'ils/elles fassent connaître leur expérience avec leur traitement, notamment en raison du fort sentiment d'anxiété de ces patient.es et d'incompréhension des proches.

Il ressort de nos échanges sur le notre réseau et des réponses à notre questionnaire que l'abémaciclib associé à l'hormonothérapie est :

Un traitement efficace

Les études démontrent l'efficacité de ce traitement associé à l'hormonothérapie dans la diminution du risque de récurrence dans les cancers du sein hormonodépendant à risque élevé de récurrence.

La consultation concernant la prise de décision partagée sur la prescription de ce traitement en adjuvant est ainsi déterminante pour une meilleure observance.

La connaissance de son risque de récurrence corrélée à un traitement ciblé plus efficace que l'hormonothérapie seule nous paraît une donnée essentielle dans la compréhension du bénéfice/risque par chaque patient.e.

Un traitement pratique et facile à suivre avec une qualité de vie satisfaisante

Ce traitement par voie orale dispensé en pharmacie de ville est pratique d'accès et le plan de prise est facile à suivre. Le suivi médical rapproché grâce à des prises de sang régulière et des consultations de suivi est à privilégier pour accompagner la patiente dans cette période complexe afin d'adapter les doses en fonction des effets indésirables ou mettre en place des soins de support adaptés.

Pour lequel il faut considérer le recours aux soins de support

Notre enquête souligne l'importance d'avoir accès aux **soins de support** (suivi psychologique) et activité physique adaptée) **ou de considérer des approches complémentaires**, par exemple, médecine chinoise, acupuncture, hypnothérapeute, masseur, sophrologue.. mais aussi un soutien à la reprise du travail.

Cependant, **l'accès aux soins de support** reste faible parmi nos répondantes, ce qui souligne l'importance d'une approche globale lors de l'annonce du traitement par abemaciclib associé à l'hormonothérapie.

Conclusion

Idéalement, cette nouvelle thérapeutique abémaciclib doit permettre à plus de personnes de guérir de leur cancer du sein, de réduire l'angoisse d'une récurrence pour des personnes plus à risque au départ

et de vivre plus longtemps dans de bonnes conditions avec le minimum d'impact sur la qualité de vie. A cet effet, un suivi rapproché et adapté (ville hôpital) paraît essentiel (suivi infirmier, application mobile PRO, accompagnement avec le pharmacien ou l'infirmière de ville...).

Lors de l'instauration du traitement adjuvant par abémaciclib, il nous semble essentiel que soient proposés un suivi psychologique, des soins de support adapté notamment l'activité physique adaptée, un suivi diététique et pouvoir échanger avec d'autres patient.es concerné.es.

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

