
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

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

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	14
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	14
1.3. Le médicament évalué	16
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)	17
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	17
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 ?	18
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	18
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	26
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	27

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 :

ENHERTU®

Dénomination commune internationale (DCI) :

TRASTUZUMAB DERUXTECAN

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

ENHERTU® en monothérapie est indiqué pour le traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein HER2 faible (IHC 1+ ou IHC 2+/ISH-) non résécable ou métastatique qui ont reçu un traitement systémique antérieur au stade métastatique ou qui ont développé une récurrence de la maladie pendant ou dans les 6 mois suivant la fin d'une chimiothérapie adjuvante. Les patients atteints d'un cancer du sein avec des récepteurs hormonaux positifs (RH+) doivent aussi avoir reçu ou être inéligibles à une hormonothérapie

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 ?

Il ressort beaucoup d'anxiété et d'inquiétude des personnes malades qui doivent faire face à leurs propres peurs et qui souhaitent préserver leurs proches. La maladie peut avoir un impact délétère sur les relations avec les proches mais aussi financièrement. Cette charge financière se rajoute à la charge mentale de la maladie métastatique.

« je ne serais plus jamais comme avant que ce soit physiquement ou mentalement, et c'est ça le plus dur, l'accepter et continuer à vivre, à vivre bien »

« Certains n'osent pas me poser de questions sur comment je vis tout ça, nos amis c'est là qu'on les voit »

« Difficultés financières entre la sécu les achats en plus » « le coût des produits de beauté, d'hygiène, de soins de support qui sont indispensables à notre bien être et pas du tout pris en charge »

« Difficulté à se projeter et moral en dent de scie »

Fatigue intellectuelle ou physique :

La fatigue des patients sous ce traitement est très présente et est ressentie fortement.

« la fatigue perturbe mon quotidien pendant 5 jours » « fatigue liée aux traitements, sommeil perturbé »

« fatigue, nausées » « très fatiguée et une certaine lassitude » « fatigue les 3 jours suivant l'injection »

« fatigue chronique et perte d'autonomie induite » « difficultés à l'endormissement »

Il ressort des réponses données que tout ce qui touche à l'alimentation est très présent notamment à cause des nausées et vomissements ressentis.

« Dégoût de certains aliments » « Perte de goût, je fractionne les repas »

« Remontées gastriques, moins d'activités quotidiennes »

« alimentation moins grasse et plus de boisson gazeuse » « avec la perte de goût je fractionne les repas »

« difficultés à l'endormissement, mal dans les muscles jambes, vomissement les 1 ers jours du traitement »

– Mobilité/déplacement :

Il est aussi mis en avant une grande fatigue liée à la maladie et aux traitements antérieurs et en cours, cette fatigue a donc des conséquences sur la mobilité et le besoin d'aide pour se déplacer.

« je n'ose pas m'absenter trop loin de mon domicile, ni à l'étranger »

« je ne conduis pratiquement plus mon véhicule (problèmes de concentration, de réflexes), donc je dépends beaucoup de mon mari pour me déplacer pour les grosses courses, les activités de loisirs »

« J'ai des difficultés à rester debout » « Fatigue vite : monter les marches »

« je ne peux plus conduire » « douleurs aiguës, mobilité réduite et perte d'autonomie »

– Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :

Aucune des répondantes à notre précédent questionnaire n'est pour l'heure en activité professionnelle, cependant certaines ont l'objectif de pouvoir le reprendre à moyen terme.

« fin d'activité professionnelle » « trop de fatigue pour reprendre le travail » « je ne travaille plus »

« j'ai repris le travail un an après le début des traitements, les métastases ont disparues et sont revenues en juin 2022, à ce moment là j'étais en 80% en temps partiel thérapeutique, avec la rechute je suis en arrêt et il m'est impossible de travailler car trop d'effets secondaires »

« en arrêt depuis 2 ans et demi, souhaite reprendre le travail mais pas facile avec les traitements et les effets secondaires »

« en arrêt de travail depuis 10 mois mais j'ai la chance d'avoir de supers collègues qui restent en lien avec moi, pareil pour mes amis et ma famille »

« je suis en invalidité. Côté activités, je ne peux plus m'engager dans des activités régulières sur une année comme je le faisais il y a quelques années car mon état est instable. Je dois constamment m'adapter à la forme du jour et se projeter est faisable mais compliqué »

– **Vie affective :**

Le diagnostic d'un cancer métastatique et son traitement affecte la vie affective des patientes dans la majorité des cas.

« dégradation de l'estime de soi » « plus de vie affective ni sexuelle, ce n'est plus ma priorité »

« je suis très bien entourée et soutenue par mon mari » « aucun changement »

– **Vie sexuelle :**

La sexualité est aussi très perturbée et de façon exceptionnelle sans impact.

« sécheresse, baisse de la libido » « la libido et le plaisir sont énormément perturbés, sécheresse vaginale »

« je n'ai pas de vie sexuelle et j'ai autre chose à penser »

« je n'ai pas de souci dans ce domaine »

– **Vie sociale :**

Confer : vie quotidienne activité professionnelle impact sur les proches

– **Autres aspects :**

L'aspect psychologique de l'urgence de vivre et de l'impossibilité de se projeter est un aspect très présent dans le quotidien des malades atteints de cancers métastatiques.

« Urgence de vivre l'instant » « Vivre sur 3 mois entre chaque tepsan sans connaître l'avenir est pesant »

« dépression, je ne fais plus aucun projet hors celui de ma succession pour mon fils » « moral fluctuant au rythme des traitements, des très hauts quand les effets secondaires se calment, et des très bas quand les effets secondaires sont difficiles à supporter »

« le grand changement est l'agressivité, je m'en rendais compte mais je ne contrôlais rien »

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 ?

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.

Les questionnaires de qualité de vie EORTC QLQ-C30 et EORTC Breast QLQ-LC..... sont les questionnaires PROMs de qualité de vie utilisés dans les essais cliniques de phase 3. Néanmoins, ces questionnaires ne nous semblent pas adaptés au recueil de données de vie réelle pour le patient

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



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

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

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

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

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

Le poids de la maladie et des traitements est supporté aussi avec les proches aidants. La qualité de vie a une importance essentielle pour mieux vivre au quotidien pour soi et sa famille.

« mon mari se sent impuissant, il a peur de l'avenir, les enfants ont une force de vivre et du positivisme, ils s'adaptent à toutes les situations. »

« Tout le monde semble le vivre correctement, de la colère qui s'apaise pour ma fille, du fatalisme pour mon fils, un peu de déni pour mon mari et ma mère, des amis toujours présents »

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.

- RH+ et HER2 négatif : l'hormonothérapie seule et la chimiothérapie sont les traitements classiques, ensuite les thérapies ciblées CDK4/6 sont associées à l'hormonothérapie
- Triple négatif (NBC) : les chimiothérapies sont le standard de traitement, ensuite un anti-corps conjugué (TRODELVY®) est prescrit ainsi que de l'immunothérapie

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les traitements d'hormonothérapie et d'anti-cdk4/6 ont des effets secondaires supportables et gérables ayant des impacts légers à modérés dans la vie quotidienne.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Par contre, les chimiothérapies classiques ou avec des anti-corps conjugués ont des effets plus néfastes et une moins bonne tolérance.

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

- Efficacité aléatoire de l'hormonothérapie et thérapie ciblée CDK4/6 à cause de l'hormonorésistance

- Les toxicités très importantes des chimiothérapies successives pour des efficacités limitées dans le temps.
- Une médiane de survie très faible pour les cancers du sein métastatiques triple négatif avec encore peu d'options thérapeutiques
- Une médiane de survie faible pour les cancers du sein métastatiques RH+ après échappement aux combinaisons HT/anti CDK4/6 avec des chimiothérapies souvent peu efficaces et souvent lourdes en toxicité

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.

- **Contenir la progression des métastases voire les faire disparaître**

« ce traitement a permis la stabilité de la maladie » « réponse complète » « amélioration rapide de mon bilan biologique »

- **Traiter spécifiquement les cancers du sein HER 2 faible**

« permet de traiter les cancers her2 faiblement positif »

- **Des effets indésirables présents mais gérables sur la durée**

« peu d'effets secondaires » « très peu, voire pas d'effets secondaires »

« pas de perte de cheveux, pas de perte d'ongles »

- **Une durée d'injection optimale**

« durée de l'injection très courte »

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 ?

Des effets indésirables pouvant être perturbants pour certains malades ,dans les 1ers mois de traitement :

« ces effets indésirables sont apparus dans les 1 ers jours puis de façon aléatoire, et ont été pris en charge par des traitements symptomatiques. »

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 confidentialité, et

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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.

Environ 15 % des cancers du sein infiltrants sont caractérisés par une surexpression de la protéine HER2 résultant d'une amplification du gène *ERBB2*. Les tumeurs HER2-faibles sont fréquentes et représentent plus de la moitié des cancers du sein (Source : Bulletin du Cancer Volume 108, Issue 11, Supplement, December 2021, Pages 11S1-11S7).

En France, 5 000 femmes seraient concernées par ce nouveau standard thérapeutique. (source site internet ICM : <https://www.icm.unicancer.fr/fr/actualites/cancer-du-sein-un-nouveau-standard-therapeutique>).

Les tumeurs à faible taux de HER2 ont traditionnellement été classées comme HER2 négatives car les médicaments existants ciblant HER2 n'étaient pas efficaces pour les traiter. Ainsi, jusqu'à présent, les **cancers HER2-faible** étaient traités comme s'ils étaient HER2-négatifs. (source National Cancer Institute - NIH : <https://www.cancer.gov/news-events/cancer-currents-blog/2022/enhertu-her2-low-breast-cancer>)

Cette nouvelle dénomination va permettre à très court terme de bien repérer les patientes dont les tumeurs entrent dans cette catégorie et proposer de nouvelles options thérapeutiques telles que l'ENHERTU®.

Il s'agira donc de **patientes dont le cancer était soit RH+ au départ soit triple négatif**.

Le cancer du sein métastatique HER2faible est une maladie grave, invalidante et incurable.

Cet anticorps conjugué vient enrichir d'une véritable **nouvelle ligne de traitement** les options thérapeutiques pour ces patients jusqu'alors non exposés aux thérapies ciblant HER2. Les malades utilisateurs de notre réseau Mon Réseau Cancer du Sein traités par l'ENHERTU font état de **son efficacité sur plusieurs mois, avec des effets indésirables légers à modérés**.

Le 27/10/2022, la commission de transparence a rendu une décision d'autorisation d'accès précoce pour cette spécialité pour une durée de 12 mois. L'ANSM a considéré dans son avis du 04/10/2022 que l'efficacité et la sécurité étaient fortement présumées.

Il ressort que l'ENHERTU permet de :

- Contenir la progression des métastases voire les faire disparaître
- Traiter spécifiquement les cancers du sein HER 2 faible

- Avec des effets indésirables présents mais gérables sur la durée
Et une durée d'injection courte

Aux vues de l'ensemble de ces éléments, il nous semble essentiel que l'ENHERTU® soit remboursé dans le droit commun.

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 ?

En utilisant les réponses au questionnaire pour l'accès précoce et les échanges des patients traités sur Mon réseau cancer du sein

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

Questionnaire et échanges

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

Le groupe accès innovations et contributions de l'association Patients en Réseau soit 4 personnes dont 3 bénévoles.

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 ?

10H

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

Il n'est pas possible de compléter la case sur le 1.3.1

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

