
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 pré-
coce

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	12
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	13
1.3. Le médicament évalué	14
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	15
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	15
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	15
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	16
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	16
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	16
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	16
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	17
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	17
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	19
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	20
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	20
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	22
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	23
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	24
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	25

Introduction

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

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

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

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

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

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



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

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

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

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

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

Note importante

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

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

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

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

LUMYKRAS

Dénomination commune internationale (DCI) :

sotorasib

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

Renouvellement en accès précoce post-AMM.

Lumikras est indiqué en monothérapie dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé, présentant la mutation KRAS G12C, dont la maladie a progressé après au moins une ligne de traitement systémique antérieur.

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 ?

- ➔ On évoque ici la situation de patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules de stade avancé, présentant la mutation KRS G12C, après échec d'un traitement antérieur systémique (traitement de référence de première ligne comprenant l'immunothérapie en première ligne pour les PDL1 > 50% ou l'association chimio immunothérapie pour tout niveau de PDL1. C'est donc une situation où l'impact de la maladie est majeur.

Le cancer du poumon fait parti des cancers de mauvais pronostic avec des chiffres de survie à cinq ans aux alentours de 20 %. Très souvent associé au tabac, il est entouré bien souvent de culpabilité, qui conduit elle aussi à un isolement et un retard dans les soins. Cette culpabilité, encore très forte socialement, touche également les 20 % de patients atteints de cancer du poumon et n'ayant jamais fumé.

- ➔ En l'absence de dépistage organisé et avec souvent des retards diagnostiques importants, ce sont plus de 75 % des cancers du poumon qui sont diagnostiqués à un stade avancé ou métastatique.
- ➔ Ce cancer est donc connu pour sa sévérité dans le grand public avec très souvent l'image d'un patient « condamné ».
- ➔ Les patients disent avoir besoin d'attention et de soutien, ce qui engendre des sollicitations importantes de l'entourage pour pallier aux difficultés quotidiennes. Ils peuvent être poussés également dans un repli (éviter l'effondrement) dur à vivre pour l'entourage. Ils se sentent moins présents dans la vie familiale avec un abandon des responsabilités qu'ils avaient antérieurement. Souvent découverte un stade avancé, ce sont les symptômes qui ont permis de découvrir la maladie. Ces symptômes peuvent s'exprimer sous différentes formes, en fonction de la localisation de la tumeur et/ou des métastases (douleurs pleurales, gêne respiratoire, douleurs articulaires ou céphaliques du fait de métastases, etc.). La fatigue est légalement assez fréquemment un symptôme de la maladie, elle peut être très importante et pourra de plus être majorée par les traitements. Pour certains, il existe des troubles de la sexualité en lien avec la maladie et des sentiments d'irritabilité, mal vécus par l'entourage. La colère et l'incompréhension sont également souvent présentes, et fréquemment liées au retard de diagnostic qu'on subit les patients (symptômes présents depuis longtemps mais ayant conduit à un diagnostic autre, par exemple lombalgies, douleurs de hanche à la marche, etc.). Beaucoup d'entre eux pensent que le cancer est un facteur d'angoisse pour la famille et les proches. La fatigue générale et le besoin de repos ont inévitablement un impact sur le rythme et les projets familiaux.
- ➔ Certains patients, seul(es,s) en charge d'une famille se retrouve dans des situations très complexes.
- ➔ Pour les patients les plus éloignés des centres de prise en charge, en plus des difficultés liées à la désertification médicale, à la pauvreté ou l'absence de disponibilité des soins de support localement, les transports nécessaires (parfois de 100 à 200 kms) pour les soins (consultation, chimiothérapie, radiothérapie), sont également sources de difficultés supplémentaires.
- ➔ Aux stades avancés, évoqués ici, de nombreux autres impacts peuvent être présents et dégrader la vie quotidienne des patients. Ils s'ajoutent aux troubles décrits ci-dessus et sont fonction des localisations tumorales et métastatiques : douleurs pariétales, périphériques ou centrales, troubles digestifs, amaigrissement important, asthénie parfois majeure, troubles neurologiques, troubles du sommeil, etc..
- ➔

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 ?

¹Parfois 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

☒ Non

☐ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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 cancer du poumon, avec son pronostic très sévère conduit à une atteinte souvent très importante du « soi » pour le patient et tout son entourage, s'il existe. Il s'en suit des troubles de l'équilibre familial et des bouleversements des rôles de chacun.
- ➔ Pour certains, les proches doivent modifier leur rythme de travail pour être plus présent à domicile et répondre aux besoins de la personne malade.
- ➔ Certains patients, seul(es,s) en charge d'une famille se retrouve dans des situations très complexes (physiquement, psychologiquement, financièrement,...).
- ➔ L'impact sur l'équilibre de la famille, sur la qualité de vie ainsi que la sensation d'être « enfermé » dans la maladie, se font donc ressentir aussi bien chez les patients que chez les aidants.

patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.

- ➔ Les cures de chimiothérapie se font également en hospitalisation et constitue souvent une contrainte supplémentaire (séparation ou nécessité d'accompagnement dans les transports médicalisés).
- ➔ Les effets secondaires des traitements, avec souvent les troubles de l'alimentation, l'atteinte des phanères, la perte des cheveux, la fatigue, marquent les patients et sont visibles pour l'entourage et viennent s'ajouter à la maladie. Ils l'a rappellent à chaque instant au patient et à son entourage. L'attente des résultats des traitements et en particulier lors des contrôles d'imagerie concerne également l'ensemble des personnes.

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.

le traitement de référence de première ligne reste l'immunothérapie en première ligne pour les PDL1 > 50% ou l'association chimio immunothérapie pour tout niveau de PDL1.

Ici, en 2eme ligne, la proposition est le Docétaxel.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Il a l'avantage d'exister et d'être disponible

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Le Docétaxel présente de nombreux effets indésirables potentiels : biologique, dermatologique, hématologique des réactions allergiques fréquentes des troubles ophtalmologiques, O.R.L., des troubles digestifs, des troubles de la nutrition, de la fatigue très fréquemment, des douleurs, etc.

Par ailleurs, le taux de réponse reste très faible, entre 7 % et 13 % selon les sources.

Entre les effets secondaires et le peu d'efficacité, il est difficile, voire impossible, d'évoquer une amélioration de la qualité de vie des patients.

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

Les patients présentant un cancer bronchiques avec mutation KRAS G12C ont des caractéristiques en termes d'âge, sexe, tabagisme similaires à la population des cancers bronchiques. Il a été démontré que la mutation KRAS n'est pas un facteur pronostic favorable ou péjoratif et que la sensibilité aux molécules de chimiothérapie ou d'immunothérapie est identique à l'ensemble de la population des patients traités pour un cancer bronchique.

Ce que l'on sait également, c'est que le cancer du poumon fait parti des cancers de mauvais pronostic avec des chiffres de survie à cinq ans aux alentours de 20 %.

Vu les effets secondaires et le peu d'efficacité du traitement de 2ème ligne, on attend que les traitements soient largement améliorés.

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.

Réponse au cadre précédent.

L'indication demandée par le laboratoire semble bien adéquate. C'est l'utilisation du Sotorasib qui a été étudiée en comparant son activité à celle du Docétaxel.

Les principales améliorations constatées par rapport au traitement actuel par Docétaxel est une amélioration significative de la survie sans progression, quels que soient les caractéristiques des patients ou de leur tumeur. Le taux de réponse se trouve améliorer à 28 % et c'est une donnée importante car les cancers du poumon sont généralement très symptomatiques et toutes réductions tumorales améliorent les symptômes des patients.

Il y a un très net avantage en faveur du Sotorasib, avec significativement moins d'effets secondaires que le Docétaxel pour les toxicités de grade trois et quatre mais également pour les toxicités de grade un et deux.

La qualité de vie des patients sous Sotorasib est meilleure que sous Docétaxel.

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?

Une remarque: la présentation galénique a améliorée car actuellement, c'est 8 gélules à avaler en une prise le matin. Est-il possible de réduire le nombre de gélules avec des formes plus dosées?"

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 ?

L'indication de ce produit concerne des patients en échec de traitement après utilisation des médicaments de référence, en 2eme ligne. La maladie peut donc progresser et conduire le patient au décès rapidement.

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

Le Docétaxel, proposé comme traitement de 2ème ligne, présente de nombreux effets indésirables potentiels : biologique, dermatologique, hématologique des réactions allergiques fréquentes des troubles ophtalmologiques, O.R.L., des troubles digestifs, des troubles de la nutrition, de la fatigue très fréquemment, des douleurs, etc.

Par ailleurs, le taux de réponse reste très faible, entre 7 % et 13 % selon les sources.

Entre les effets secondaires et le peu d'efficacité, il est difficile, voire impossible, d'évoquer une amélioration de la qualité de vie des patients.

Les patients présentant un cancer bronchiques avec mutation KRAS G12C ont des caractéristiques en termes d'âge, sexe, tabagisme similaires à la population des cancers bronchiques. Il a été démontré que la mutation KRAS n'est pas un facteur pronostic favorable ou péjoratif et que la sensibilité aux molécules de chimiothérapie ou d'immunothérapie est identique à l'ensemble de la population des patients traités pour un cancer bronchique.

Ce que l'on sait également, c'est que le cancer du poumon fait parti des cancers de mauvais pronostic avec des chiffres de survie à cinq ans aux alentours de 20 %.

Vu les effets secondaires et le peu d'efficacité du traitement de 2ème ligne, on attend que les traitements soient largement améliorés.

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



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

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

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

Les principales améliorations constatées par rapport au traitement actuel par Docétaxel est une amélioration significative de la survie sans progression, quels que soit les caractéristiques des patients ou de leur tumeur. Le taux de réponse se trouve améliorer à 28 % et c'est une donnée importante car les cancers du poumon sont généralement très symptomatiques et toutes réductions tumorales améliorent les symptômes des patients.

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

Il y a un très net avantage en faveur du Sotorasib, avec significativement moins d'effets secondaires que le Docétaxel pour les toxicités de grade trois et quatre mais également pour les toxicités de grade un et deux.

La qualité de vie des patients sous Sotorasib est meilleure que sous Docétaxel.

Les informations essentielles concernent :

Les modifications physiques et morales ressenties, positives ou négatives, en termes de qualité de vie.

Tout ce qui pour le patient semble concerner directement le produit évalué : réactions lors de l'injection, après injection, l'ensemble des effets survenant dans les jours suivants, l'ensemble des effets survenant en cas d'application d'une nouvelle dose.

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



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

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

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

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

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



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

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

Quels sont les informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement évalué ?

Les informations essentielles concernent :

Les modifications physiques et morales ressenties, positives ou négatives, en termes de qualité de vie.

Tout ce qui pour le patient semble concerner directement le produit évalué : réactions lors de l'injection, après injection, l'ensemble des effets survenant dans les jours suivants, l'ensemble des effets survenant en cas d'application d'une nouvelle dose.

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. ?)

La collecte des informations demandées doit s'adapter aux possibilités et à l'état du patient.

L'utilisation de questionnaires adaptés est un guide indispensable pour le patient, ou pour le proche qui pourrait l'aider à remplir le questionnaire, mais également pour le soignant intervenant au domicile en cas de nécessité (patient isolé, très fatigué, douloureux, etc.).

La place du patient expert ne nous apparaît pas dans cette situation.

Au total, il faut donc combiner plusieurs modalités de réponse pour s'adapter à chaque patient

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 de 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

³ Également appelées « variables d'intérêt »

consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

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

☐ Oui

☒ Non

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

Non

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 Docétaxel, proposé comme traitement de 2eme ligne, présente de nombreux effets indésirables potentiels : biologique, dermatologique, hématologique des réactions allergiques fréquentes des troubles ophtalmologiques, O.R.L., des troubles digestifs, des troubles de la nutrition, de la fatigue très fréquemment, des douleurs, etc.

Par ailleurs, le taux de réponse reste très faible, entre 7 % et 13 % selon les sources.

Les principales améliorations constatées avec le sotorasib, par rapport au traitement actuel par Docétaxel est une amélioration significative de la survie sans progression, quels que soit les caractéristiques des patients ou de leur tumeur. Le taux de réponse se trouve améliorer à 28 % et c'est une donnée importante car les cancers du poumon sont généralement très symptomatiques et toutes réductions tumorales améliorent les symptômes des patients.

Il y a un très net avantage en faveur du Sotorasib, avec significativement moins d'effets secondaires que le Docétaxel pour les toxicités de grade trois et quatre mais également pour les toxicités de grade un et deux.

La qualité de vie des patients sous Sotorasib est meilleure que sous Docétaxel.

Cette molécule est donc innovante, efficace et globalement bien supportée et mieux tolérée que les traitements de référence de deuxième ligne. Elle concerne 1500 à 2000 patients par an en France (porteurs de la mutation KRAS G12C) qui bénéficieront ainsi d'une ligne supplémentaire de traitement. Par ailleurs, cette mutation est systématiquement recherchée en France pour les CBNPC non épidermoïdes et les CBNPC épidermoïdes chez les « non ou petits fumeurs ».

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 ?

Travail de groupe avec les membres du bureau. Compilation des témoignages reçus depuis la création de l'association.

Compilation des témoignages reçus au travers des participants au groupe d'entraides, mis en place par l'association, gratuits, animés par des professionnels, à destination des patients et également des aidants les proches (inscription sur le site Internet.

Référentiels Auvergne-Rhône-Alpes en Oncologie thoracique.

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

Compilation des témoignages reçus au travers des participants au groupe d'entraides.

Echanges avec les autres associations concernées par le cancer du poumon.

Consultation de la littérature et retour d'expérience des soignants.

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

Jean Pierre Lassaingne, président et secrétaire.

Grégory Rouleaud, membre du bureau, psychologue clinicien.

Sophie Gatellier, membre du bureau, patiente, secrétaire de recherche clinique.

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 ?

Travail étalé sur plusieurs semaines et non chiffré.)

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

